IX kadencja

KANCELARIA SEJMU
Biuro Komisji Sejmowych

PEŁNY ZAPIS PRZEBIEGU POSIEDZENIA

■ **KOMISJI ZDROWIA**
(NR 198)
z dnia 5 października 2022 r.

Pełny zapis przebiegu posiedzenia

Komisji Zdrowia (nr 198)

5 października 2022 r.

Komisja Zdrowia, obradująca pod przewodnictwem posła **Tomasza Latosa (PiS)**, przewodniczącego Komisji, na posiedzeniu zwołanym w trybie art. 152 ust. 2 regulaminu Sejmu, zrealizowała następujący porządek dzienny:

– „Przedstawienie przez Ministra Zdrowia pana Adama Niedzielskiego informacji w zakresie refundacji leku genetycznej terapii rdzeniowego zaniku mięśni dla dzieci do szóstego miesiąca życia, które nie otrzymały wcześniej leczenia na SMA i badanych w ramach Rządowego Programu Badań Przesiewowych Noworodków, obowiązującej od 1 września 2022 r.”.

W posiedzeniu udział wzięli: **Maciej Miłkowski** podsekretarz stanu w Ministerstwie Zdrowia ze współpracownikiem, **Iwona Kasprzak** dyrektor Departamentu Gospodarki Lekami w Centrali Narodowego Funduszu Zdrowia, **Maria Gostyńska** doradca ekonomiczny w Departamencie Zdrowia Najwyższej Izby Kontroli, **Zuzanna Wolska** przedstawicielka Departamentu Strategii i Działań Systemowych w Biurze Rzecznika Praw Pacjenta, **Walery Arnaudow** i **Marek Wleklik** przedstawiciele Izby Gospodarczej „Farmacja Polska”, **Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska** przewodnicząca Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni oraz **Anna Kostera-Pruszczyk** wiceprzewodnicząca PTND, wiceprzewodnicząca Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni, **Stanisław Maćkowiak** prezes Federacji Pacjentów Polskich, **Kamila Malinowska** dyrektor Biura Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, **Katarzyna Pedrycz** wiceprezes Fundacja SMA, **Magdalena Wysocka** pełnomocnik dyrektora ds. Programów Lekowych Medycznych i Badań Przesiewowych Instytutu Matki i Dziecka, a także **Piotr Gebauer**, **Krzysztof Kulczyński** oraz **Iwona Ulanowska** rodzice dzieci chorych na SMA.

W posiedzeniu udział wzięli pracownicy Kancelarii Sejmu: **Małgorzata Siedlecka-Nowak**, **Jakub Stefański** oraz **Monika Żołnierowicz-Kasprzyk** – z sekretariatu Komisji w Biurze Komisji Sejmowych.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dzień dobry. Otwieram posiedzenie Komisji Zdrowia. Witam bardzo serdecznie członków Komisji, pana ministra ze współpracownikami, a także wszystkich zaproszonych gości. Stwierdzam kworum.

Szanowni państwo, posiedzenie zostało zwołane w trybie art. 152 ust. 2 regulaminu Sejmu, na wniosek grupy posłów, który wpłynął do Komisji w dniu 5 września br. Zgodnie z wnioskiem grupy posłów, porządek dzisiejszego posiedzenia obejmuje przedstawienie przez Ministra Zdrowia pana Adama Niedzielskiego informacji w zakresie refundacji leku genetycznej terapii rdzeniowego zaniku mięśniowego dla dzieci do szóstego miesiąca życia, które nie otrzymały wcześniej leczenia na SMA i badanych w ramach Rządowego Programu Badań Przesiewowych Noworodków, obowiązującej od 1 września br.

Chcę podkreślić, że brzmienie porządku dziennego wynika z wniosku grupy posłów. Komisja nie może go ani zmienić, ani skreślić, w związku z tym nie podlega on zatwierdzeniu przez Komisję.

Teraz oczywiście poproszę o wprowadzenie do dyskusji przedstawiciela strony wnioskodawców. To będzie kto? Pani przewodnicząca Wielichowska. Bardzo proszę, pani przewodnicząca.

Poseł Monika Wielichowska (KO):

Bardzo dziękuję. Panie przewodniczący, szanowny panie ministrze, drogie posłanki, posłowie, szanowni zaproszeni goście, rozpoczynamy posiedzenie sejmowej Komisji Zdrowia w czasie, kiedy w Funduszu Medycznym jest zgromadzonych 7 mld zł, kiedy NFZ oddaje do budżetu państwa 10 mld zł i kiedy po wypowiedzi ministra Sasina o haraczu z giełdy wyparowuje 40 mld zł... Bardzo bym prosiła o nieprzeszkadzanie. Każdy będzie mógł zabrać głos na posiedzeniu Komisji.

Dziś, szanowni państwo, mówię w imieniu rodziców dzieci wykluczonych z refundacji terapii genowej lekiem Zolgensma. Rodziców, którzy są głosem małych pacjentów.

Refundacja leczenia najdroższym lekiem świata brzmi dobrze, gdyby nie rozpacz rodziców dzieci chorych na SMA, bo Ministerstwo Zdrowia ruszyło z refundacją tylko dla wybranych. Miała to być szansa, a została odebrana nadzieja. Dzieci zostały podzielone na przesiewowe i nieprzesiewowe, na lepsze i gorsze.

Zostało wykluczonych 27 dzieci, które walczą przede wszystkim z czasem, ale też z każdym kilogramem, bo refundacji nie otrzymają dzieci, które ukończyły 6 miesięcy. Refundacji nie otrzymają dzieci, które otrzymały inny lek na tę chorobę. Zostały skreślone praktycznie wszystkie dzieci, które mają założone trwające wciąż zbiórki. Jednym słowem, rodzicom wykluczonych dzieci wbito nóż w serce, a decyzją o refundacji, która wykluczyła ich dzieci, nóż w plecy. Dlaczego? Ano dlatego, że po pierwsze, odebrano im nadzieję, a po drugie, że ich zbiórki wyhamowały, bo w prasie i telewizji pojawiły się wielkie tytuły „Koniec milionowych zbiórek", „NFZ zrefunduje najdroższy lek na świecie". I co się stało? Ludzie przestali wpłacać pieniądze na trwające wciąż i przecież potrzebne zbiórki.

Rodzice chcieliby wam dzisiaj o tym powiedzieć, i mam nadzieję, że będą mieli na to szansę, bo tutaj, na tej sali, są. Ja przypomnę, że art. 68 konstytucji – mówił o tym zresztą wyraźnie Rzecznik Praw Obywatelskich w swoich wystąpieniach do Ministra Zdrowia – jasno wskazuje, że każdy obywatel powinien mieć równy dostęp do świadczeń opieki zdrowotnej. Eksperci zaś wskazują, że nie ma przeszkód do podania Zolgensmy dziecku, które przechodzi terapię innym lekiem. Natomiast Europejska Agencja Leków jasno wskazuje, że nie ma ograniczenia wieku dla tego leku. Zresztą przecież w wielu krajach tego typu bariery nie zastosowano.

Zatem z powodu jakich medycznych zaleceń wykluczacie dzieci, panie ministrze. Próbowałam o to zapytać z posłanką Iwoną Kozłowską podczas ostatniego posiedzenia Sejmu i odpowiedzi na to pytanie nie otrzymałyśmy, bo na pewno nie tych samych, które funkcjonują w wielu innych krajach.

Mówimy o kwocie 170 mln zł – kilka dni temu. Tyle brakuje, żeby Ministerstwo Zdrowia, rząd, dołożyły do trwających zbiórek dla dzieci wykluczonych z leczenia terapią genową. Chodzi o 27 małych pacjentów.

Szanowni państwo, na koniec chciałabym jednak zacytować trzy wypowiedzi pana ministra w odpowiedzi na nasze pytania w sprawach bieżących, w nadziei, że dzisiaj wytłumaczy, nie tylko mi, co miał na myśli, ponieważ ja z nich kompletnie nic nie rozumiem. Pan minister Miłkowski powiedział, cytuję: „Jest podawany skuteczny lek i co do zasady nie powinno się zabierać skutecznego leczenia na rzecz potencjalnie nieskutecznego leczenia, które jest oferowane, ponieważ nie ma żadnych badań naukowych, firma nie przedstawiła żadnych badań, że takie leczenie jest skuteczne". To pierwszy cytat.

Drugi: „Ponieważ wszystkie te osoby, o których panie mówią, to nie jest prawda..." – wymieniałyśmy dzieci, które zostały wykluczone z refundacji i z jakich powodów – „...panie chcą zabrać skuteczne leczenie. To jest nieetyczne postępowanie posłów, żeby zabierać dzieciom leczenie. To nie jest dobre, żeby tak traktować te osoby, zabierać skuteczne leczenie. Żaden ekspert nie powie, że ten lek jest bardziej skuteczny" – tu koniec cytatu.

I jeszcze jeden, ostatni. Cytuję: „Nie ma czegoś takiego, że leczenie jest na wniosek pacjenta, nawet jeżeli jest to szkodliwe czy niewłaściwe dla dzieci. Trzeba jeszcze zwrócić uwagę, że to są dzieci. Nie powinno się zabierać skutecznego leczenia, zgodnie z oczeki-

waniem posłów, dzieciom, które nie mają możliwości wypowiadania się, ponieważ są jeszcze za małe”. Koniec cytatu.

Mam nadzieję dzisiaj na merytoryczną dyskusję. Mam nadzieję również na przełom w tej bardzo poważnej sprawie. Liczy się czas, panie ministrze, i każdy kilogram, który przybywa chorym dzieciom wykluczonym z leczenia, z refundacji. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Zanim rozpoczniemy dyskusję, zanim oddam głos panu ministrowi – zresztą za chwilę powiem też o zasadzie, według której chciałbym, żebyśmy dyskutowali – to, szanowni państwo, parę rzeczy muszę jednak powiedzieć jako przewodniczący.

Wniosek został złożony przez grupę posłów i jak państwo widzą, ja ten wniosek, oczywiście zgodnie z regulaminem Sejmu, uwzględniłem. Mamy dzisiejsze posiedzenie Komisji na ten temat. Bardzo bym prosił wszystkich państwa, którzy będą zabierali głos, niezależnie czy to są posłowie czy inne osoby, czy eksperci, a może przede wszystkim osoby, u których należy rozumieć te emocje związane z chorobą kogoś z najbliższych, abyśmy starali się mówić jednak maksymalnie w sposób wyważony i merytoryczny.

Obawiam się tego, niestety... Zresztą na ten temat rozmawiałem również w obrębie prezydium, aby ta dyskusja w dniu dzisiejszym nie była swego rodzaju uprawianiem polityki na i w związku z cudzym nieszczęściem. Bardzo mi na tym zależy.

Ja chcę podkreślić, że również w czasach, kiedy kierowałem Komisją i byliśmy w opozycji, ja byłem w opozycji, miałem określone instrumenty jako przewodniczący, to bardzo tego pilnowałem, aby takiej sytuacji nie było. Dlatego też, m.in., od razu wyjaśnię jedną rzecz, dopuszczając wszystkich do dyskusji zależało mi na tym, aby były na przykład również oficjalne organizacje reprezentujące pacjentów, w tym tych konkretnych – od 2013 r. jest Fundacja SMA – aby nie było sytuacji takiej, że jest to uznaniowe, że jest zaproszony taki rodzic albo taki, albo może jeszcze jakiś inny, a nie jest zaproszony jeszcze ktoś inny. Tym bardziej, że od dawna obrady Komisji są do śledzenia online, a więc każdy bez wyjątku może je obserwować i wyrobić sobie własne zadanie.

Zostałem poproszony i otrzymałem informację, że tutaj jest grupa osób, i są też w drodze, która – jak zrozumiałem – chce się tylko przysłuchiwać posiedzeniu Komisji. Bardzo wszystkich proszę o to, abyśmy w sposób wyważony rzeczywiście korzystali z tej możliwości obecności tutaj. Podkreślam, że od razu, gdy organizowałem posiedzenie Komisji, były zwołane organizacje pacjenckie, byli zaproszeni eksperci.

A teraz, odnośnie do propozycji, jak byśmy rozmawiali. Ja proponuję, że jeżeli ta dyskusja ma wnieść coś merytorycznego, a nie na zasadzie opinii jednego posła, drugiego posła, z całym szacunkiem, nawet lekarzy, którzy są wśród nas, a jest ich niemało w Komisji – też nie znamy się na wszystkim, każdy jest ekspertem w swojej specjalności medycznej, ale też są osoby spoza Komisji, które pewnych mechanizmów zrozumiałych dla lekarzy mogą nie rozumieć – abyśmy zaczęli od wypowiedzi ekspertów. Czyli, aby po wypowiedzi pana ministra w pierwszej kolejności zabrali głos eksperci, którzy zajmują się tą problematyką, profesorowie, i przedstawili swoje stanowisko, abyśmy wiedzieli, o czym dyskutujemy. Później, oczywiście już wspólnie, czy pozostali zaproszeni goście, w tym te wspomniane przeze mnie organizacje pacjenckie i posłowie, tu już nie będziemy rozdzielać. To w zależności od tego, jak kto się zgłosi. Po prostu chciałbym, aby najpierw było to szerokie wprowadzenie, bo – z całym szacunkiem – pan minister też bazuje na wiedzy ekspertów, dobrze więc, aby oni mieli możliwość wypowiedzi.

Tak więc, panie ministrze, oddaję panu głos. Bardzo proszę.

Podsekretarz stanu w Ministerstwie Zdrowia Maciej Miłkowski:

Dziękuję bardzo serdecznie za to spotkanie pani poseł i grupie posłów. Rozmawialiśmy faktycznie na ten temat wielokrotnie i cały czas uważamy, że to program bardzo istotny. Jest to program, który w Polsce uwzględnia najlepsze leczenie i jest jednym z najlepszych programów w Europie w zakresie leczenia rdzeniowego zaniku mięśni.

Państwo dostali materiał z Ministerstwa Zdrowia. Zresztą było chyba kilkadziesiąt interpelacji poselskich i senatorskich w tym zakresie. Faktycznie była również korespondencja z rzecznikiem praw obywatelskich, z rzecznikiem praw dziecka, jak również

mieliśmy interwencje poselskie w Ministerstwie Zdrowia w tej sprawie. Tak więc wiele rzeczy w tym zakresie jest już wiadomo.

Polska jako jeden z pierwszych krajów wdrożyła pełne leczenie dla pełnej populacji. Nie ograniczała leczenia dla wyjątkowych grup, jak zrobiło wiele państw w zakresie terapii nusinersenem, również terapii genowej. Objęliśmy wszystkich pacjentów w Polsce.

Włączanie pacjentów trwało prawie dwa lata. W pierwszej kolejności objęliśmy najcięższych pacjentów, najmłodszych pacjentów i wszyscy w Polsce są leczeni. Aktualnie, od 1 września są poszerzone trzy terapie. Już dodatkowo została dopuszczona terapia doustna rysdyplamem. W przypadku braku możliwości podawania czy trudności z podawaniem, zespół koordynacyjny, który w tym zakresie działa przy Narodowym Funduszu Zdrowia, może podjąć decyzję o zmianie terapii na inną terapię. Oczywiście mamy również terapię genową Zolgensma, która też jest w tym programie.

To, co było w dokumentacji rejestracyjnej, są to trzy badania, na których Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji się opierała i wszystkie badania były dla pacjentów, którzy nie mieli wcześniej leczenia, do 6 miesiąca życia, z czego jedno było istotnie skuteczne dla pacjentów do 6 tygodnia życia, którzy otrzymali terapię. Pozostali, w okresie późniejszym – wyniki były zdecydowanie gorsze. Aktualnie nie ma jeszcze żadnych wyników badań. Prowadzone są badania, porównania poszczególnych terapii lekowych.

My opieramy się na wniosku Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, który był opublikowany w lutym 2021 r. Właśnie tam była dokładnie określona populacja – tak więc już prawie ponad 1,5 roku ten zakres jest znany – która jest analizowana i objęta tym leczeniem. Jednakże negocjacje trwały dosyć długo, bo jak państwo wiedzą, ten lek jest bardzo drogi i w porównaniu z obecnymi terapiami w Polsce ta terapia Zolgensmą jest nieefektywna, nie była efektywna. W pewien sposób zbliżyliśmy się po ostatnich negocjacjach, ale nadal koszt dożywotniego leczenia przez 80 lat jest wyższy niż aktualnie dostępnych terapii. Jednak widząc pacjentów, tych którym lek podawany jest w pierwszym miesiącu życia, przyjęliśmy, że jednorazowe podanie jest istotnym elementem, który sankcjonuje to, że mogliśmy przyjąć ten lek do refundacji dla naszej populacji.

Program jest od 1 września. Jeden pacjent z tej terapii skorzystał. Chyba dwa dni temu pierwszy pacjent skorzystał z terapii i w tym tygodniu lub w kolejnym jest jeszcze zakwalifikowanych chyba trzech pacjentów. Łącznie chyba czterech w tym zakresie, to panie profesor powiedzą.

Ostateczny program lekowy jest zawsze uzgadniany z firmą farmaceutyczną, z wnioskodawcą, również z ekspertami, z konsultantem krajowym. Tutaj były negocjacje odnośnie do populacji, która powinna być objęta. No i trzeba jeszcze wziąć pod uwagę, ponieważ jest to technologia lekowa o wysokiej wartości technologii innowacyjnej, że musi być udzielona gwarancja efektywności terapii dla poszczególnych grup. Producent musi zagwarantować tę efektywność danej terapii po to, żeby w późniejszym okresie, po zakończeniu pierwszego okresu finansowania przez dwa lata, z urzędu nie zabrać terapii, która jest nieefektywna. Jeśli bowiem okaże się nieefektywna, to wówczas jest taki wniosek i takie leczenie dla każdej nowej populacji jest zabierane. W tym wypadku, ponieważ jest to jednorazowe podanie, tote osoby już dostały leczenie, ale żadne kolejne osoby nie dostałyby możliwości kontynuowania terapii Zolgensmą.

W przypadku grupy innej niż ta, która jest przyjęta do refundacji, jak państwo wiedzą, są to pacjenci wykryci w badaniach przesiewowych do 6. miesiąca życia, nieleczeni innymi technologiami lekowymi. I to jest, jak państwo wiedzą, jednorazowe podanie, ale monitorowanie pacjenta jest przez 4 lata. Pacjent musi się pojawiać na wizytach i wszystkie efekty monitorowania są analizowane, bo od tego zależy, czy będzie dalsza refundacja tego leku po tym pierwszym okresie.

To są właściwie główne elementy i ja bym chciał oddać głos. Jest z nami grupa ekspertów, która uczestniczyła w całej tej refundacji. W pierwszej kolejności to Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, jest przedstawiciel, pani dyrektor Kamila Malinowska.

Również bardzo istotnym elementem w tym całym procesie jest to, że Polska jako jedno z państw ma w całości wdrożony system badań przesiewowych i jest możliwość roz-

poczęcia leczenia w pierwszym miesiącu. Za ten system badań przesiewowych odpowiada doktor Ołtarzewski, ale jest z nami przedstawiciel, pani dyrektor Magdalena Wysoka. Nie ma dzisiaj z nami przewodniczącej zespołu działającego przy Narodowym Funduszu Zdrowia, zespołu kwalifikacyjnego, pani profesor Kotulskiej-Jóźwiak, ale są z nami dwie panie profesor, które również w tym zespole są w prezydium: pani profesor Mazurkiewicz-Bełdzińska, która jest jednocześnie prezesem Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych, jak i pani profesor Kostera-Pruszczyk. Realizowaliśmy od samego początku terapię nusinersenem i rozmawialiśmy od dwóch lat na temat nowych terapii, które rozpoczęły nowy program lekowy w tym zakresie.

Jest też z nami oczywiście pani dyrektor Departamentu Gospodarki Lekiem Narodowego Funduszu Zdrowia, który jest płatnikiem. To oczywiście duże wyznawania dla szpitali, ponieważ to jest najdroższa terapia. Z tego, co widzimy, jeden szpital będzie miał w najbliższym tygodniu trzech pacjentów. W związku z tym to jest bardzo duży udział jednego programu lekowego w całym budżecie szpitala. Nie wiem, jak...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Ja poproszę teraz o zabranie głosu przez ekspertów. Bardzo proszę, pani profesor.

Przewodnicząca Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

Dzień dobry państwu, ja nazywam się Mazurkiewicz-Bełdzińska. Przyjechałam do państwa z Gdańska, ale przede wszystkim muszę odnieść się do słów pani poseł, która wnosiła o to spotkanie... Czy grupy posłów, ale pani poseł tutaj...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

To znaczy, jest dokładnie tak: grupa posłów wnosi i ma swojego reprezentanta.

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

I muszę odnieść się do pewnych danych, które padły na samym początku wystąpienia pani poseł. Otóż pani poseł mówi o tym, że 27 dzieci zostało wykluczonych z leczenia. Otóż, pani poseł, to jest nieprawda. Te dzieci wszystkie są leczone i leczone są leczeniem skutecznym. My nie mamy żadnych danych i przy tym będziemy się upierać, żeby... To nie jest kłamstwo...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Szanowni państwo, bardzo proszę posłów z jednej i z drugiej strony o niekomentowanie. Wysłuchajmy z uwagą wszystkich wypowiedzi. Bardzo proszę panie profesor.

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

Tak więc wszyscy ci pacjenci są leczeni. To jest pierwsza rzecz. Leczeni są lekiem skutecznym, czyli nusinersenem. Niestety, urodzili się w tym czasie, kiedy nie było jeszcze refundacji leczenia terapią genową. Terapia genowa została zrefundowana po ogromnych dyskusjach, dla pacjentów, dla których ma szansę być najskuteczniejsza, czyli pacjentów do 6 miesiąca życia, nieleczonych niczym wcześniej i będących pacjentami z przesiewu, który działa fantastycznie i o tym zaraz może powiedzieć pani dyrektor Wysocka czy pani profesor Kostera.

Ja chciałabym przede wszystkim, żeby nie wybrzmiało coś takiego, bo proszę państwa, mieliśmy najpierw refundację Spinrazą. Wszyscy byliśmy zachwyceni, bo ta refundacja szła dosyć szeroką ławą. Teraz mamy refundację dwóch dodatkowych leków i de facto, zamiast się cieszyć, to państwo podnoszą jakiś taki problem – ale poczekajcie państwo – który jest troszeczkę nieprawdziwy.

Pani mówi, że w innych krajach jest inaczej. Proszę sobie wyobrazić, że my jesteśmy jednym z czterech krajów w Europie, który ma taki, a nie inny, model refundacji i najszybciej na świecie działający przesiew. I myślę, że ja rozumiem frustrację rodziców, którzy zbierają pieniądze w zbiórkach, ale ja jestem neurologiem dziecięcym od ponad

30 lat i nie podpiszę się pod tym, żeby jeden pacjent brał dwie trapie naraz, lub trzy terapie, bo ja nie mam na to żadnych dowodów, że ja temu pacjentowi długoterminowo nie robię krzywdy.

O tym państwo też musicie pamiętać, że pacjenci leczeni lekiem modyfikującym jakby ten nieczynny gen, czyli takimi oligonukleotydami antysensownymi, jakim jest nusinersen czy rysdyplam... To są leki, o których my nie wiemy, jaką będą miały konsekwencję interakcji z terapią genową. W związku z tym dla bezpieczeństwa tej populacji pacjentów, tej właśnie populacji objętej przesiewem, tej wcześniej nie leczonej, to są pacjenci, którzy mogą wybrać: terapia genowa lub nusinersen. Jeżeli są przeciwwskazania odnośnie do nusinersenu, to ewentualnie terapia doustna, ale po drugim miesiącu życia. Tak więc pacjent, razem z lekarzem prowadzącym, ma tak naprawdę na dzień dzisiejszy dostęp do tego, co dla niego, według współczesnej wiedzy jest najlepsze. I to, że 27 dzieci jest leczonych nusinersenem, a nie jest leczonych terapią genową, to naprawdę jest trochę tak, jak my byśmy się cofnęli, nie wiem, o 4 lata, kiedy nie było jeszcze metody na przykład trombektomii mechanicznej leczenia udaru mózgu i ktoś był leczony trombolizą, i nie był leczony zbyt efektywnie.

Ten czas niekiedy nie działa na naszą korzyść. Po prostu, jest decyzja refundacyjna 1 września i od 1 września noworodki dostają terapię genową, jeśli do niej się kwalifikują.

Tak jak mówił pan minister: jeden noworodek już otrzymał leczenie. To się odbyło w szpitalu w Łodzi u pana doktora Przysło. Teraz jest wysiew poznański. W Poznaniu jest dwoje noworodków, które czekają na terapię genową.

I ja chciałabym jeszcze zwrócić uwagę państwu, którzy tak walczą o terapię genową, że to jest terapia obarczona ogromnym ryzykiem im starsze jest dziecko. Państwo musicie sobie z tego zdawać sprawę. To jest przewlekła sterydoterapia, bardzo intensywne monitorowanie pacjenta i niestety, w tej starszej populacji, w tej, która jest już dużo bardziej objawowa, bo nie była identyfikowana w przesiewie, tylko wcześniej, ta terapia obarczona jest dużo większym ryzykiem. Dlatego naprawdę, proszę wierzyć, że to, co się wydarzyło, w naszej opinii, naprawdę jest czymś, co musimy wytłumaczyć państwu, żeby nie mówić, że te dzieci są nieleczone i skazane na śmierć, bo to jest nieprawda.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Następny głos, proszę uprzejmie.

Wiceprzewodnicząca PTND, wiceprzewodnicząca Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Anna Kostera-Pruszczyk:

Anna Kostera-Pruszczyk. Ja jestem neurologiem dziecięcym i pediatrą. Kieruję Kliniką Neurologii Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego. Klinika, którą kieruję, a w której pracuję już od prawie 30 lat, zajmuje się pacjentami z chorobami mięśni, w tym z SMA, od lat 50. ubiegłego stulecia. Od ponad dekady prowadzimy rejestr. Ja pozwalam sobie powiedzieć o tym państwu dlatego, że reprezentuję grupę lekarzy, którzy bardzo dużo swego zaangażowania od wielu lat kierują pod adresem tej grupy pacjentów, i tak było również w czasach zanim pojawiła się jakakolwiek farmakoterapia.

Ja postaram się maksymalnie krótko wypowiedzieć, ale uważam, że absolutnie kluczowe do tego, żebyśmy zobaczyli, jak wygląda program leczenia rdzeniowego zaniku mięśni w Polsce, jest spojrzenie na kilka elementów. Proszę państwa, to jest tak. SMA jest chorobą, która ma ten sam mechanizm genetyczny. Chorują zarówno dzieci, jak i dorośli.

Generalnie w kontekście potencjalnej terapii genowej mówimy o dzieciach z tzw. SMA1. To są dzieci, które w okresie, kiedy nie było jeszcze żadnego leczenia, rozwijały pierwsze objawy w pierwszym półroczu życia. Bez terapii wchodziły w niewydolność oddechową, były zależne od respiratora i umierały z reguły przed końcem drugiego roku życia, nie nabywały żadnych umiejętności ruchowych. To były dzieci, które pod koniec pierwszego roku życia nie były w stanie w zasadzie ruszać prawie niczym. Dramatycznie absolutnie przebiegająca choroba.

To co wiemy z badań naukowych, z obserwacji przebiegu naturalnego właśnie tej postaci SMA1, to jest to, że ten proces, który toczy się w organizmie maleńkiego dziecka, przebiega w sposób piorunujący. My czasami mówimy: czas to motoneuron. Motoneuron

to jest ta komórka, która jakby obumiera w związku z chorobą. W przypadku pacjentów z SMA1 czasami mówimy, że to jest tak, jak by spadać z klifu. Spada liczba tych komórek bardzo szybko już od pierwszych tygodni po urodzeniu, w związku z tym to okno czasowe, w którym jesteśmy w stanie możliwie jak najskuteczniej ratować zdrowie, sprawność dzisiejszą i przyszłą tego dziecka, jest bardzo niewielkie. I to jest absolutnie kluczowa informacja w kontekście oceny całości programu lekowego, który w tej chwili w Polsce istnieje.

Nie będę mówiła na temat SMA2 i 3, tych postaci przebiegających łagodnie. Generalnie terapia genowa jest zarejestrowana do leczenia dzieci, które mają tam jeszcze taki element drugiego genu, dwie-trzy kopie. To są w zasadzie dzieci, które z definicji chorowałyby na SMA1, niewiele z nich na SMA2.

Proszę państwa, w 2017 r. była rejestracja pierwszego leku, leku dokanałowego. Ten lek, decyzją refundacyjną, stał się dostępny dla polskich pacjentów od marca 2019 r. i my włączamy to leczenie w Polsce – o tym też trzeba wiedzieć – ekspresowo. Szybko, to jest powiedzieć za mało.

Zanim stał się aktywny, zanim wszedł, zresztą jako jeden z pierwszych krajów w Europie Polska rozpoczęła badanie przesiewowe noworodków w kierunku SMA. W kontekście tego, co my wiemy, jak szybko dochodzi do nieodwracalnych zniszczeń zanim pojawią się pierwsze objawy, ten przesiew ma kluczowe znaczenie. Wszystkie dzieci są w Polsce włączane na bieżąco. My jako zespół obradujemy w określonych terminach, ale jeżeli pojawia się wniosek świeżo rozpoznanego dziecka i ja o tym wiem dzisiaj, to kwalifikacja jest dzisiaj. Czasami w tym samym dniu, czasami w kolejnym, dziecko otrzymuje leczenie.

Nie jest tak, jak w wielu krajach leżących na zachód od nas, w których trzeba poczekać w kolejce, a jeszcze przez ten czas stan neurologiczny dziecka się pogarsza. W tym kontekście robimy absolutnie wszytko, co jest możliwe, ale robimy to również dzięki tym już uruchomionym mechanizmom refundacyjnym. To jest pierwsza informacja.

Druga informacja, proszę państwa, jest taka, że my nie mamy w tej chwili żadnych przekonujących dowodów naukowych, które nam mówią o wyższości którejkolwiek z tych trzech terapii, bo to nie jest tak, że do 1 września w Polsce my tym potwornie chorującym pacjentom nie mieliśmy nic do zaoferowania. Mieliśmy świetny program, który został rozszerzony i wzbogacony, w mojej osobistej ocenie w bardzo dobry sposób, ponieważ adresuje tę terapię podawaną raz w życiu do tej populacji dzieci, u których odnosi ona najwyższą skuteczność, równocześnie wiążąc się z najniższym ryzykiem działań niepożądanych.

To ryzyko poważnych działań niepożądanych w przypadku terapii genowej bardzo wyraźnie rośnie zarówno z rosnącą masą ciała, jak i wiekiem pacjenta. To jest pierwsza informacja.

Druga informacja jest taka, również z danych spoza badań klinicznych. My wiemy, że w tych krajach czy w pewnych sytuacjach finansowych – choć nie ma to również uzasadnienia merytorycznego według dzisiejszego stanu wiedzy – gdzie czasami jest możliwość podawania sekwencyjnie kilku terapii, bardzo często rodzice dzieci, które otrzymały terapię genową w okresie, kiedy choroba jest już dość mocno zaawansowana i nie spełniło to ich wszystkich nadziei i oczekiwań, albo wracają do terapii nusinersenem, czyli tym lekiem, który jest już refundowany, albo o tego rodzaju terapię występują.

Ja myślę, że my wszyscy musimy mieć świadomość, że przy ogromnym wysiłku, który wszyscy wykonujemy, żeby dzieci ratować, żeby robić dla nich jak najwięcej, przychodzi moment choroby, w którym nie ma możliwości cofnięcia wszystkiego, co ta choroba już zrobiła. Myślę więc – to mówię z czysto osobistego punktu widzenia – że wielką krzywdą, którą można zrobić pacjentowi i jego bliskim, jest obiecywać mu skuteczność terapii, która jest niemożliwa do osiągnięcia. Tego nie wolno nam robić w żadnym kontekście, tutaj również.

Zatem, patrząc również na wyniki tych badań, które były publikowane także w odniesieniu do terapii genowej i jest taki ładny wykres, który mówi o różnym poziomie skuteczności, ta skuteczność jest bardzo dobra, najwyższa, jeżeli ta terapia jest podana bardzo wcześnie, w pierwszych miesiącach życia przy dobrym stanie neurologicznym dziecka. Dużo mniejsza, podana w miarę wcześnie, przy zaawansowanym stanie i bar-

dzo niska, jeżeli jest to już w okresie zaawansowania choroby. My jesteśmy w tej chwili w sytuacji takiej – ja już staram się kończyć moją długą wypowiedź – że dzięki wprowadzeniu programu badań przesiewowych, działającemu na poziomie przekraczającym wyniki osiągnięte w jakimkolwiek znanym mi kraju...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Przepraszam, pani profesor. Pani poseł, no naprawdę. W tej sali jest wyjątkowo... Bardzo proszę, nie rozmawiajcie państwo...

Wiceprzewodnicząca PTND, wiceprzewodnicząca Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Anna Kostera-Pruszczyk:

Ja już kończę, ostatnie trzy zdania...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani profesor, ja nie mówiłem tego do pani. Tylko po prostu muszę, niestety, panować nad tym, że tu z lewej rozmawiają, z prawej rozmawiają i robi się jednak zamieszanie. Tak więc bardzo bym prosił o ciszę, a pani profesor niech kontynuuje. Proszę.

Wiceprzewodnicząca PTND, wiceprzewodnicząca Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Anna Kostera-Pruszczyk:

To, o co my walczymy, to jest to, żeby podać tę terapię jak najwcześniej. Mamy przesiew finansowany w całości ze środków publicznych. W wielu krajach walczą o pilotaż i jeszcze go nie mają. Nasze dzieci są w stanie dostać terapię w pierwszym miesiącu życia. To się nie zdarzało w badaniach klinicznych, to się w zasadzie nie zdarzało z wyjątkiem sytuacji, kiedy rozpoznanie było stawiane prenatalnie, jeśli na SMA chorowało starsze rodzeństwo i rodzice wiedzieli, że chcą tę informacje uzyskać bardzo wcześnie.

Ja powiem jeszcze jedną rzecz, która, wydaje mi się, też nigdy do końca nie wybrzmiała w przestrzeni publicznej. Raz jeszcze powtórzę to, co powiedziała pani profesor Mazurkiewicz-Bełdzińska: 100% tych dzieci, przy których, w tych opisach – ja rozumiem emocje wszystkich rodziców, za długo pracuję z tymi pacjentami, żeby tego nie rozumieć, i naprawdę nie mieliśmy im nic do zaoferowania, a teraz mamy – w zasadzie nie pojawia się informacja, że te dzieci są leczone, a one są leczone w zasadzie od momentu rozpoznania. Są leczone i mają skuteczność tej terapii. I to jest pierwsza informacja.

A druga informacja, proszę państwa, jest taka, że z tego, co wiem, to około 80% dzieci, które ze zbiórek otrzymały terapię genową, wróciło do nusinerseu, mimo że jeden z argumentów był taki, żeby uniknąć tego podania leku co 4 miesiące, żeby uzyskać więcej. Być może to oznacza, że ta droga podania leku była jednak akceptowalna i być może to jednak oznacza, że nie tylko my, lekarze, monitorując skuteczność terapii w skalach, ale również ci rodzice, widzieli skuteczność terapii.

Moja wypowiedź nie jest o tym, że rodzic nie ma prawa walczyć – ja dla mojego dziecka poszłabym nawet do piekieł – ale my mamy super program. Naprawdę, to znakomity program celowany, dla tych pacjentów, którzy mogą na tym leczeniu w tym momencie skorzystać najbardziej. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję. Bardzo proszę, pani profesor.

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

Przepraszam najmocniej, ale jeszcze tak jakby trochę ad vocem pani profesor Kostery-Pruszczyk. Ja powiem tak. Prowadzę Klinikę Neurologii Dziecięcej w Gdańskim Uniwersytecie Medycznym i my hospitalizujemy najmłodsze dzieci, też te, które trafiły do nas z przesiewu. Mieliśmy to szczęście, że trafiło do nas pierwsze dziecko w Polsce z przesiewu. Oczywiście były pewnego rodzaju nerwy, bo to jest zupełnie inny pacjent i zupełnie inna grupa rodziców. To nie są rodzice, którzy już się zmagali z jakimś problemem, tylko to są rodzice, na których spada informacja: państwa dziecko jest chore. Jednak my z przesiewu wiedzieliśmy to, że ono jeszcze nie jest tak chore. Większość tych dzieci była naprawdę w stanie przedobjawowym. Wszystkie dostały leczenie, jeszcze wtedy leczenie nusinersenem, u mnie w klinice jeszcze rysdyplamem, bo my braliśmy

udział w badaniach klinicznych. Ponieważ pierwszy pacjent był identyfikowany w sierpniu zeszłego roku i jeszcze był pilotaż, to tak naprawdę jest to pacjent, który rozwija się doskonale. I muszę powiedzieć, że to są rzeczy, jak mówiła pani profesor, które nas napawają ogromnym szczęściem.

Wydawało się nam, że razem z Fundacją SMA i całym środowiskiem nazwijmy to ludzi zajmujących się neurologią, neurologią dziecięcą i chorobami rzadkimi, bo jednak rdzeniowy zanik mięśni jest chorobą rzadką, będziemy mogli pochwalić się takim modelowym przykładem... To też nie było od razu. Ta walka o refundację była długa. Państwo sami wiedzą. Wielokrotnie koleżanka była na posiedzeniu Komisji Zdrowia, gdzie mówiliśmy: błagamy o terapię genową, a gdy już był przesiew, to ten argument był dodatkowy, że podamy tym pacjentom, którzy najlepiej z tego leku skorzystają. Ale też nie może być tak, że my dopuścimy, że każdy pacjent będzie brał sobie jeden lek, potem drugi, a potem trzeci, bo nie mamy na to – podkreślam jeszcze raz – żadnych naukowych danych, żeby trzy terapie czy dwie terapie były lepsze od jednej. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję. Czy ktoś jeszcze z ekspertów chciałby zabrać głos?

Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:

Jeśli można, jeszcze parę słów na temat tego, jak działa przesiew w Polsce i w jakim czasie następuje ostateczne postawienie diagnozy u pacjentów.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Proszę bardzo.

Pełnomocnik dyrektora ds. Programów Lekowych Medycznych i Badań Przesiewowych Instytutu Matki i Dziecka Magdalena Wysocka:

Magdalena Wysocka, Instytut Matki i Dziecka. Chciałabym powiedzieć, że pierwsze badania przesiewowe zostały wprowadzone w Polsce w 1964 r. i był to przesiew w kierunku fenyloketonurii. Wtedy wdrażanie przesiewu trwało od 1965 r. praktycznie do roku 1990. Potem, powoli, pojawiały się następne przesiewy. To były przesiewy w kierunku wrodzonego przerostu nadnerczy, mukowiscydozy, chorób metabolicznych i były wprowadzane długo.

Przesiew w kierunku SMA. Wprowadzaliśmy w instytucie pilotaż pod koniec roku 2020. W kwietniu 2021 r. województwo mazowieckie miało po raz pierwszy wprowadzony przesiew i do 28 marca tego roku, czyli w niespełna rok, przesiewem została objęta cała Polska. Z żadnym przesiewem tak się nie wydarzyło.

Nie wiem, czy państwo wiecie, jak wykonuje się przesiew. Dziecko w drugiej-trzeciej dobie życia ma pobieraną krew z pięty i potem bibułki z oddziałów noworodkowych są przesyłane do ośrodków wykonujących badanie przesiewowe. W przypadku SMA, wszystkie są przesyłane do Warszawy.

Czas wykonania badania przesiewowego jest uzależniony od czasu, kiedy szpital przyśle bibułkę do laboratoriów, które mają. Na dzień dzisiejszy te bibułki przewożą firmy kurierskie i bibułka w laboratorium, w przypadku SMA, jest już w trzeciej-czwartej dobie. W wyjątkowych sytuacjach jest tak, że tej bibułki po prostu nie ma, bo z jakichś dziwnych powodów ta bibułka nie dojechała.

Rejestracja w laboratorium tych wszystkich bibułek, które są, jest między piątą a siódmą dobą. Potem test przesiewowy, wynik pierwszego badania przesiewowego – bo my robimy wstępne badanie, czy to dziecko ma to SMA czy nie – jest w zależności od tego, jak nam wychodzi, czyli między czwartą dobą a dziesiątą.

Warunkiem tego, żeby wykonać takie badanie, jest zgoda rodzica na wykonanie badania genetycznego, podobnie jak w przypadku mukowiscydozy. Inne badania przesiewowe możemy wykonać w momencie dostania bibuły. W przypadku SMA musimy mieć zgodę rodziców i akurat brak zgody rodziców powoduje, że mamy taki rozstrzał i tak późno badanie przesiewowe pierwsze. Najpierw jest badanie przesiewowe. Potem z próbki krwi, którą mamy, weryfikujemy to badanie i sprawdzamy, która to może być mutacja. Wtedy szybciutko jest przekazywana informacja do koordynatora, którym jest lekarz neurolog w pobliżu miejsca zamieszkania dziecka. On wzywa dziecko, pobiera

próbkę krwi drugą. To badanie z pobranej próbki krwi jest wykonywane najpóźniej w ciągu dwóch dni i dziecko może rozpocząć leczenie. Ta informacja jest przekazywana do zespołu koordynacyjnego, który – tak jak mówiła tutaj pani profesor Kostera-Pruszczyk – jest kwalifikowane do badania w ciągu jednego, dwóch dni...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dobrze. Dziękuję bardzo. To wszystko. Czy tak?

Pełnomocnik dyrektora ds. Programów Lekowych Medycznych i Badań Przesiewowych IMiD Magdalena Wysocka:

Tak. To znaczy, ja chciałabym powiedzieć, że te dzieci są rozpoznane już w ciągu dwóch tygodni, a w ciągu trzech tygodni mogą rozpocząć leczenie w kierunku SMA.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Jeszcze tutaj, proszę bardzo.

Dyrektor Biura Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji Kamila Malinowska:

Dziękuję bardzo. Szanowny panie przewodniczący, szanowni państwo, ja nazywam się Kamila Malinowska. Jestem dyrektorem Biura Prezesa w Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Jestem też lekarzem specjalistą w dziedzinie epidemiologii.

Agencja lek Zolgensma oceniała w trybie tworzenia wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, który został wdrożony ustawą o Funduszu Medycznym w listopadzie 2020 r. Ta ustawa zobowiązywała agencję do tego, że wszystkie leki, które zostały zarejestrowane w 2020 r., miały być ocenione, a wykaz miał być ustalony do dnia 26 listopada 2021 r. Lek Zolgensma został zarejestrowany, czyli dopuszczony do obrotu na terenie Unii Europejskiej, w dniu 18 maja 2020 r. W dniu 26 lutego 2021 r., po kilku miesiącach, bez wniosku podmiotu, została wydana, jakby w trybie ustawy, opinia na temat zasadności stosowania tego leku w warunkach wykazu dla technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, który oznacza, że technologia ta jest bardzo obiecująca, natomiast istnieją wątpliwości i ryzyka związane z jej stosowaniem. Oczywiście nie kwestionujemy w tym przypadku...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Ja bardzo przepraszam. Bardzo proszę, nie rozmawiajcie państwo. Proszę kontynuować.

Dyrektor Biura Prezesa AOTMiT Kamila Malinowska:

Dziękuję bardzo. Absolutnie tutaj nie kwestionujemy zasadności dopuszczenia tego leku do obrotu i stosowania go u pacjentów, natomiast bazowaliśmy też na danych, które były w tym momencie dostępne, danych i badań rejestracyjnych przedstawionych przez producenta leku do rejestracji tego preparatu.

Proszę państwa, dysponowaliśmy tak naprawdę trzema badaniami. Do jednego z nich zostali włączeni pacjenci w wieku 6 miesięcy lub młodsi. W drugim do badania zostali włączeni pacjenci w wieku poniżej 6 tygodni w chwili podania leku, a w trzecim badaniu leczeniem zostali objęci pacjenci w wieku poniżej 6 miesięcy. To jest informacja dotycząca tak naprawdę tego, jaka była charakterystyka tych pacjentów, którzy zostali objęci leczeniem.

Należy też zwrócić uwagę na to, jakiej jakości, jakiej wiarygodności były badania, którymi dysponowaliśmy przy ocenie. Wszystkie były badaniami jednoramiennymi, niezaślepionymi i nierandomizowanymi, co oznacza, że nie było w tych badaniach porównawczej grupy pacjentów, którzy otrzymywaliby skuteczne leczenie, dzięki któremu można byłoby porównać efektywność nowej terapii względem aktualnie dostępnej skutecznej terapii, którą pacjenci mogliby zastosować. W naszej ocenie oczywiście posługiwaliśmy się porównaniem względem historycznej grupy kontrolnej, którą dysponowaliśmy, aby móc ocenić...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Przepraszam, proszę naprawdę zaprzestać rozmów na końcu. Tu jest naprawdę dziwnie, trudno się prowadzi. Jest taka akustyka, że to bardzo przeszkadza. Proszę bardzo.

Dyrektor Biura Prezesa AOTMiT Kamila Malinowska:

Dziękuję. Aby można było tak naprawdę ocenić, jaka jest wielkość tego efektu zdrowotnego, jaka jest różnica po zastosowaniu leku względem tych przypadków, kiedy leczenie nie mogło być zastosowane albo z jakiegoś innego powodu nie było podane. Tutaj warto odnieść się tak naprawdę do kwestii tego, jakie punkty końcowe były oceniane w każdym z tych badań.

Oczywiście podstawowym punktem końcowym, do którego się odnosiła, był zgon pacjenta. Drugi, istotny klinicznie punkt końcowy to możliwość funkcjonowania pacjenta bez użycia wentylacji, która wspierałaby proces oddechowy. Jak doskonale państwo wiedzą, ma to bardzo istotne kliniczne znaczenie dla tych pacjentów. Oprócz tego były też oceniane inne punkty końcowe, które za chwilę państwu przytoczę, a które dotyczyły tak naprawdę aktywności ruchowej pacjentów i były oceniane u każdego pacjenta w identyczny sposób.

Analiza przeżycia w pierwszym badaniu wskazała, że na 22 leczonych pacjentów 20 pacjentów przeżyło, czyli w dwóch przypadkach odnotowano zgon pacjenta. Dwóch pacjentów z grupy leczonej pomimo leczenia nie przeżyło.

Jeżeli chodzi o wentylację, jej zastosowanie czy niezależność od stałej wentylacji, to ona wskazywała, że w 18 miesiącu leczenia po zastosowaniu terapii 81,8% pacjentów, czyli 18 na 22, nie wymagało stałej wentylacji. U tych pacjentów nie oceniano wpływu terapii na jakość ich życia. To jest oczywiście bardzo utrudnione z racji tego, że są to pacjenci...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani dyrektor, pani doktor jednocześnie...

Dyrektor Biura Prezesa AOTMiT Kamila Malinowska:

Zmierzam do końca.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

...bardzo bym prosił, gdyby pani była uprzejma przedstawić wnioski z tego badania. Dobrze? Bardzo o to prosimy.

Dyrektor Biura Prezesa AOTMiT Kamila Malinowska:

Dobrze. To jeszcze jedno zdanie na temat zastępczych punktów końcowych, które były oceniane, bo dotyczyły one tak naprawdę rozwoju ruchowego tych pacjentów. Opierały się na ocenie możliwości przewrotu pacjentów z pleców na boki, siedzenia bez podparcia przez 30 sekund i siedzenia bez podparcia przez co najmniej 10 sekund. Co to oznacza, jakie to ma implikacje dla pacjentów, tak naprawdę dla leczenia, dla oceny tych leków w trybie ustawy o Funduszu Medycznym?

Leki włączone do wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności są terapiami obiecującymi – jak już państwu wspomniałam – ale związanymi z dużą niepewnością efektu, który został do tej pory zaobserwowany i z dużą niepewnością odnośnie do tego, na ile ten rezultat z badania klinicznego może być przeniesiony, czy zostanie powielony w praktyce klinicznej. Z tego względu leki te oceniane są następnie w rejestrze, który w tym przypadku jest też rejestrem SMPT, aby można było zobaczyć, czy ta terapia rzeczywiście jest skuteczna w warunkach praktyki klinicznej. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Otwieram dyskusję, tak jak już wcześniej zapowiadałem. Widzę kolejne zgłoszenia i mam też zgłoszenia posłów, oprócz tych osób, które się zgłosiły. Mam tu na kartce, pierwszy jest pan poseł Hardie-Douglas. Bardzo proszę.

Poseł Jerzy Hardie-Douglas (KO):

Dziękuję bardzo. Panie przewodniczący, szanowni państwo, z wielkim zainteresowaniem wysłuchałem obu pań profesor i przedstawiciela AOTMiT-u. Pani profesor twierdzi, że powinniśmy się cieszyć, a tym czasem marudzimy. Ja do tych maruderów też należę, do tych, którzy marudzą.

Ja oczywiście cieszę się z rozwoju screeningu w Polsce. To jest niewątpliwa zasługa – zawsze trzeba oddać papieżowi co papieskie i naprawdę chapeau bas – przecież w końcu w niewielu krajach są prowadzone badania przesiewowe noworodków. Super, że to jest u nas.

Ta decyzja refundacyjna ministra, jeżeli chodzi o Zolgensmę, opiera się głównie na rekomendacjach AOTMiT-u, a te z kolei – zresztą przed chwileczką o tym słyszeliśmy – na opinii europejskiego konsensu w sprawie zastępczej terapii genowej w SMA i Charakterystyce Produktu Leczniczego, czyli na rekomendacjach producenta leku. Jeśli chodzi o te rekomendacje europejskie – co zresztą jest już dzisiaj w gronie neurologów pewnym truizmem – i jeśli rozumie się jakby istotę choroby to też jest oczywiste, że największe korzyści uzyskują dzieci bezobjawowe, które otrzymają terapię genową do 6 miesiąca życia.

Jest stosunkowo mało literatury na temat korzyści, które mogą odnieść dzieci starsze, z wagą poniżej 13,5 kg, którym podano Zolgensmę, a które rozpoczęły już wcześniej terapię innymi lekami – przede wszystkim rozmawiamy tutaj o tym dokanałowym nusinersenie albo o lekach doustnych, risdiplamie – ale takie doniesienia są, i wcale nie jest ich mało, przede wszystkim ze Stanów Zjednoczonych. Waga poniżej 13,5 kg spełnia kryteria podania leku, które są zapisane w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Między innymi pan minister twierdził, że producent jakby dyskwalifikuje tego typu kryterium, jak wagowe, tymczasem nie jest to prawdą. W Charakterystyce Produktu Leczniczego jest dopuszczenie leczenia genowego u dzieci, które nie przekroczyły 13,5 kg.

Istnieje konsens odnośnie do tego, że im dziecko starsze, im więcej waży, i któremu trzeba oczywiście zwiększać dawkę, tym większe jest niebezpieczeństwo leczenia. Mówiła o tym pani profesor i odnośnie do tego nikt nie ma wątpliwości. Dlatego my dzisiaj nie rozmawiamy o dzieciach, które ważną po 15–20 kg, aczkolwiek są kraje, również w Europie, które dopuszczają leczenie Zolgensmą tych dzieci cięższych.

Wszystkie te dzieci, te 27 osób, o których mówimy, 27 dzieci, które nie mogą obecnie skorzystać z leczenia terapią genową, mają wagę poniżej 13,5 kg, co jest niezwykle ważne. Wszystkie dzieci, które rodzą się obecnie, jak państwo doskonale wiecie, dzięki tym badaniom przesiewowym, „załapią się” na tę refundację, na leczenie. Natomiast nie mamy oczywiście pewności, jaki skutek przyniesie leczenie tych dzieci, które minister w swoim rozporządzeniu niejako wykluczył z tego leczenia, czyli te, które mają poniżej 13,5 kg wagi, ale już przekroczyły 6 miesięcy albo też zaczęły terapię innym lekiem. Nie wiemy, jaki to przyniesie skutek, ale nie ma też takich przesłanek, aby sądzić, że nie przyniesie skutku, bowiem dystrofia mięśni jest u tych dzieci nasilona w bardzo różnym stopniu.

Zmierzam do końca. Zarówno ja, jak i moi koledzy z Koalicji Obywatelskiej, uważamy, że ponieważ jest dosyć wyjątkowa sytuacja, mamy dzieci, które już z całą pewnością nie kwalifikują się do leczenia, jak panie tutaj mówimy, tak życie chciało, że się urodziły w momencie, kiedy jeszcze nie było skutecznego leczenia...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Panie doktorze, no przepraszam, są leczone. Pan mówi o tym konkretnym leku, żebyśmy nie mówili, nie powtarzali – ktoś to obserwuje i słucha – że nie są leczone. O to proszę.

Poseł Jerzy Hardie-Douglas (KO):

Nie są leczone terapią genową. Panie przewodniczący, jak pan wie, jestem onkologiem. Mówienie, że te leki są równoważne nie jest prawdą. To jest tak, jakbyśmy... Ale proszę dać mi dokończyć. To jest tak...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Panie doktorze, pan powiedział, że jest pan onkologiem. No, nie przychodzi do pana do oddziału neurolog i mówi, w jaki sposób ma pan leczyć...

Poseł Jerzy Hardie-Douglas (KO):

Czy może mi pan pozwolić dokończyć myśl? Tak? Dzisiaj w onkologii stosuje się powszechnie terapię genową. Nie można powiedzieć, że ktoś, kto ma na przykład raka płuca i otrzymuje chemioterapię, otrzymuje taką samą dobrą terapię jak ten, który

kwalifikuje się do terapii genowej, ponieważ wyniki są diametralnie różne. Jeżeli więc kogoś można leczyć dzisiaj osiągnięciami inżynierii genetycznej, to należy to robić. Tak ja przynajmniej uważam. Jeśli moi koledzy uważają inaczej, to niech to powiedzą... Proszę mi dać dokończyć, bo ja naprawdę chcę powiedzieć, jaka jest konkluzja tego.

Jesteśmy w dosyć wyjątkowej sytuacji. Mamy grupę dzieci, która nie może już być leczona, przynajmniej w tej chwili, terapią genową. Mamy też te dzieci, które mają to szczęście, że przechodzą przez screening i na pewno tę terapię genową, która sprowadza się do jednego wlewu i daje znaczną szansę na to, że dziecko będzie wyleczone... To jest jakby druga grupa dzieci, która oczywiście z roku na roku będzie się powiększać. I mamy 27 dzieci, które spełniają kryteria, które można by, że tak powiem, podciągnąć pod możliwość leczenia terapią genową.

Są dzieci w Polsce, między innymi w ośrodku lubelskim, które otrzymywały inne leczenie, są starsze niż 6 miesięcy i otrzymały komercyjnie terapię genową. Należy się spytać pani docent Chrościńskiej-Krawczyk, czy rzeczywiście wystąpiły tam jakieś niebezpieczne powikłania i czy te dzieci osiągnęły korzyść z tego leczenia. Uważamy, że ponieważ są pieniądze...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Panie pośle, panie doktorze, bardzo długo pan mówi. Naprawdę proszę do puenty.

Poseł Jerzy Hardie-Douglas (KO):

Ponieważ są pieniądze w Funduszu Medycznym i nie mamy żadnej pewności, że tego typu terapia zastosowana u tej 27 nie da pożądanych skutków, powinniśmy tę terapię w ramach stworzonego trialu, jakiegoś badania, najlepiej w ośrodku, który ma największe doświadczenie, jednak przeprowadzić. Nic nie ryzykujemy, natomiast jest to olbrzymia szansa.

To leczenie dokanałowe przez całe życie jest niezwykle kłopotliwe, i panie to powinny wiedzieć. To jest leczenie, które stosuje się między innymi u dorosłych. W tej chwili w Stanach Zjednoczonych, żeby podać po raz kolejny lek dokanałowo, podaje się go pod tomografią komputerową, dlatego że nie można u tych pacjentów się wkłuć. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dobrze. Po prostu to...

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

My musimy, przepraszam bardzo...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Zanim pani profesor odpowie, bo to rzeczywiście wymaga odpowiedzi...

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

Ale ja tylko trzy zdania.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

...i to ex catedra, właściwie nie pytanie, a stwierdzenie. Ja proponuję, aby tu jakoś uporządkować tę dyskusję... Tak, pani poseł, widzę panią, pani poseł Zawisza. Przed panią parę innych osób się zgłaszało. Naprawdę, jest jakaś kolejność.

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

Ja muszę...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Jeżeli pani profesor pozwoli, ja proponuję 3–4 mam nadzieje pytania, a nie stwierdzenia, a później odpowiedź i z powrotem, bo tak co jedno to chyba nie miałoby sensu... Po tym, ale po trzech-czterech też będzie na świeżo. Trudno co każde, bo mogę sobie wyobrazić, że różne podobne wypowiedzi będą. Pan poseł Maksymowicz się zgłasza. Bardzo proszę.

Poseł Wojciech Maksymowicz (Polska2050):

Panie przewodniczący, Wysoka Komisjo, jeżeli pan przewodniczący pozwoli, wypowiem się w paru zdaniach, najpierw jako lekarz, któremu sprawy układu nerwowego nie są obce, a potem już jako polityk. Po pierwsze, jako lekarz muszę powiedzieć, będąc uczniem śp. pani profesor Hausmanowej-Petrusewicz, że przez te dziesięciolecia nie wyobrażaliśmy sobie, że ten zakres chorób będzie poddawał się skutecznemu leczeniu. To, co od trzech lat jest stosowane, czyli skuteczne leczenie, jest po prostu wypełnieniem pewnych oczekiwań. Teraz jest tylko kwestia nowych metod, które są nawet nie konkurencyjne, tylko inne i jest inna droga podania rzeczywiście, co oczywiście w przypadku lekarzy zajmujących się układem nerwowym nie stanowi najmniejszego kłopotu. W przypadku trudności podawania leków powtarzanych, to tak jak w onkologii można założyć zbiornik i podawać to po prostu do zbiornika. To jest bardzo prostą sprawą. Nie jest to więc jakieś wielkie ograniczenie, tylko pewne wyobrażenie. Tak więc medycznie muszę powiedzieć, że argumentacja ekspertów w pełni mnie przekonuje.

A teraz, jako że jestem posłem, jestem politykiem, więc muszę powiedzieć, że co cesarskie cesarzowi a co boskie bogu. Ponad 90% spraw, które prowadzi obecne Ministerstwo Zdrowia, jest według mnie godne krytyki i będzie wymagało za rok i miesiąc gruntownej zmiany. Jednak właśnie ta perspektywa powoduje – jestem przekonany, że za rok i miesiąc pewnie ta zmiana będzie musiała nastąpić – że musimy mieć bardzo odpowiedzialne podejście. W tym wypadku trzeba więc powiedzieć – w mojej ocenie, po wysłuchaniu ekspertów i wysłuchaniu tego wszystkiego, mając też swoją wiedzę – że jedyne, co można egzekwować wyraźnie, to ten zapis, który był przedstawiony, podkreślony i wytłuszczony w materiale ministra, że „w przypadku pojawienia się nowych wyników badań klinicznych potwierdzających skuteczność terapii w innych populacjach docelowych, wnioskodawca może ubiegać się o zmianę warunków refundacji" i należy tego pilnować. Natomiast nie można powiedzieć, że to postępowanie jest akurat jakieś wadliwe. Według mnie, akurat to wyjątkowo jest wzorcowe.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Dziękuję też za zwięzłą wypowiedź. Pani poseł Zawisza, proszę.

Poseł Marcelina Zawisza (Lewica):

Szanowny panie ministrze, szanowny panie przewodniczący, zacznę od tego, że to bardzo dobrze, że Polska ma w tej chwili jeden z najbardziej kompletnych programów leczenia SMA na świecie. Mamy badania przesiewowe, dostępne właściwie wszystkie leki i polskie państwo robi naprawdę prawie wszystko, co współczesna medycyna oferuje na SMA. Jest naprawdę długa lista krajów, w których leczenia SMA nie dorasta do pięt temu, co mamy w Polsce i to naprawdę należy docenić.

Ja bym chciała tylko zapytać o jeden szczegół, o finansowanie Zolgensmy dla dzieci, które nie mogą być objęte programem lekowym B.102. Zapytałam o to pana ministra w interpelacji i bardzo dziękuję za obszerną odpowiedź, którą dostałam jeszcze przed dzisiejszym posiedzeniem Komisji. Zacytuję moim zdaniem najważniejszą rzecz, bo pytałam, czy Ministerstwo Zdrowia uważa, że możliwe by było w uzasadnionych przypadkach finansowanie Zolgensmy pacjentom, którzy już nie „łapią się" na warunki włączenia do programu lekowego. Byłoby to finansowanie w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Tu pan minister wypowiada się, jak rozumiem, o terapii dla pacjentów, u których wszystkie inne opcje w dostępnych programach lekowych zawiodły. I tu cytuję „Ewentualne rozważenie terapii z zastosowaniem leku Zolgensma może nastąpić w przypadku nieskuteczności lub nietolerancji wyżej wymienionych leków, z uwzględnieniem sytuacji klinicznej pacjenta oraz przesłanek w postaci dostępnych dowodów naukowych. Minister zdrowia ponownie wskazuje, że ostateczną decyzję w zakresie terapii z zastosowaniem leku Zolgensma podejmuje zawsze lekarz prowadzący leczenie pacjenta lub w przypadku rozważenia leczenia w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych, właściwy konsultant w dziedzinie neurologii dziecięcej".

Chciałabym więc jeszcze raz jasno od pana ministra usłyszeć, czy jest możliwa sytuacja, w której, choćby to było po wyczerpaniu programów lekowych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, konsultant wydałby decyzję o leczeniu terapią

genową. Oczywiście mam świadomość tego, że to są bardzo skomplikowane sytuacje, ale chciałabym mieć pewność, że nasze państwo pójdzie za ciosem i będzie w stanie zaoferować ten lek we wszystkich sytuacjach, gdy ma to sens podparty decyzją konsultantów. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję. Pan przewodniczący Hoc, proszę.

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Dziękuję, panie przewodniczący. Szczerze mówiąc, nie wiem, jak rozpocząć moją wypowiedź, bo te dwie ostatnie wypowiedzi troszeczkę stonowały naszą dyskusję...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

I proponuję w tym duchu się trzymać.

Poseł Czesław Hoc (PiS):

No właśnie, ale powiedziałbym litości, litości i jeszcze raz litości. To, że ktoś nie jest lekarzem i mówić takie bzdury może, to się nie dziwię, bo normalnie, gdyby to lekarz powiedział, mając kompleksowy program leczenia SMA, a więc taki, o jakim praktycznie nawet nie marzyliśmy, że wbijamy nóż w serce, to Kodeks Etyki Lekarskiej od razu by obejmował... Całe szczęście, że pani nie jest lekarzem. To po pierwsze.

Po drugie, proszę państwa, jeszcze raz mówię, tylko cztery państwa w Europie – może się mylę, ale to Niemcy, Austria, Czechy i Wielka Brytania – mają podobny program. My mamy program kompleksowego leczenia SMA. Wszystkie osoby w Polsce, które mają SMA, są objęte leczeniem. Najpierw był nusinersen, czyli Spinraza i automatycznie onasemnogen abeparwowek, czyli praktycznie Zolgensma, no i oczywiście risdiplam, doustnie. Proszę państwa, leki, wręcz awangarda. Polska w awangardzie leczenia.

Szczerze mówiąc, myślałem, że opozycja jakoś się zreflektuje i stanie, wszyscy staniemy i oklaskami podziękujemy ministerstwu, Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, zespołowi ekspertów neurologii, że naprawdę objęliśmy wszystkie dzieci, noworodki, nie tylko przesiewem, screeningiem, ale i kompleksowym leczeniem tej choroby. Dlatego mogę apelować o jakąś refleksję, o jakąś powagę. Dajmy już spokój. Przecież zdrowie – zawsze to podkreślamy – jest apolityczne, apartyjne, ponad podziałami. Jesteśmy wartością nadrzędną, więc chociaż tutaj bądźmy rozsądni i miejmy powagę. Natomiast nie atakujmy tego, czego nie ma. Dajcie spokój. Przecież po prostu nie można było tego słuchać na początku. To jest naprawdę nóż w plecy polskiej medycynie, polskim ekspertom i polskiej myśli technologicznej, innowacyjności, odwadze.

Wam tak bardzo ten Fundusz Medyczny doskwiera. Przecież wczoraj 3,1 mld daliśmy na centra pediatryczne...

Głos z sali:

Kto dał?

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Daliśmy. To znaczy, daliśmy wszyscy jako społeczeństwo. Wszyscy daliśmy. Nie powiedziałem, że Prawo i Sprawiedliwość dało... Jako społeczeństwo daliśmy na centrum pediatrii...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Naprawdę, szanowni państwo, skończmy z tą polemiką. Proszę pana przewodniczącego o dokończenie wypowiedzi i...

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Już kończę. Po prostu brakuje mi słów. Prosiłbym też o refleksję i praktycznie przeproszenie za te noże w plecy, w serce itd. Obrażacie autorytety medyczne, a jednocześnie obrażacie wartości i wymiar aksjologiczny. Przecież medycyna to sztuka i wiedza, trzeba więc mieć też pewną pokorę, a jednocześnie refleksję i powagę. Dziękuję, bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję, panie pośle. I na koniec tej tury pan poseł Kosiniak-Kamysz, proszę. Później odpowiedź i kolejna grupa.

Poseł Władysław Kosiniak-Kamysz (KP):

Dziękuję bardzo, panie przewodniczący. Panie ministrze, szanowne panie profesor, Wysoka Komisjo, będę mówił też w imieniu tych rodziców, z którymi wielokrotnie rozmawiałem i najpierw przekażę od nich podziękowanie za to, co udało się zrobić, bo oni wszędzie, gdzie się pojawią – to są rodzicie tych dzieci, które są leczone już w trybie refundacji jednego czy drugiego leku, czy też rodzice, którzy jeszcze kontynuują zbiórki, bo to już nie 27 a 25 rodzin kontynuuje zbiórki, dwie rodziny już wypadły z tego – zawsze i wszędzie podkreślają, że są bardzo wdzięczni za to, co udało się zrobić. I myślę, że ta wdzięczność jest też nas wszystkich: moja, również tych, którzy zabierali głos, bo to, co się udało, to jest duża sprawa.

Niewątpliwie pozostaje ta grupa 25 rodzin w Polsce, która dzisiaj prowadzi zbiórkę, która szuka tej nadziei, która chodzi po festynach, występuje w Internecie, stara się o te pieniądze i ma zapewnienie podania tego leku w Polsce, bo inaczej nie mogłaby tej zbiórki rozpocząć, tylko że, jeśli zbierze pieniądze. I tu jest ta nierówność, której oni nie rozumieją. Ja też tej nierówności nie rozumiem, dlaczego, jeśli sami zbiorą pieniądze, te 9 mln, mogą mieć podany ten lek w ośrodku w Polsce, a żeby mieli refundację, to nie ma takiej możliwości czy jest niechęć.

Mam konkretne pytanie do pana ministra, czy rozważa, jako piastun organu, jakim jest minister zdrowia, zmianę zasad refundacji tego leku nie zmieniając dawkowania, bo to jest możliwe. Dawkowanie nie jest oparte na wieku, tylko na kilogramach. Dziękuję za spotkanie z panem dyrektorem departamentu farmacji, bardzo ciekawe i dobre, bo byliśmy z panem posłem Klimczakiem na takiej interwencji, na takim spotkaniu. Dawkowanie zależy – to zresztą wynika z tego spotkania – od wagi pacjenta, a nie jego wieku. Jednak zasady, które określił pan minister, dotyczą właśnie wieku. Czy rozważa pan możliwość odejścia od tej zasady 6 miesięcy, od tego, żeby było poddane przesiewowemu badaniu? Pytam, bo ja znam osobiście jeden przypadek, że przesiewy po prostu wchodziły w ostatnim etapie – to jest województwo podkarpackie – i dziecko spełnia kryteria wszystkie inne. Spełnia kryterium wiekowe, ale nie spełnia tego kryterium udziału w badaniu przesiewowym. Czy rozważacie zmianę tych zasad? To jest to pytanie, które ci rodzice zadają nam i też z tego powodu jest to posiedzenie Komisji Zdrowia, żeby im odpowiedzieć na to pytanie.

Czy rozważacie możliwość przeprowadzenia konsylium, które by zaprosiło każdą z tych rodzin, 25 już na dzisiaj, i przynajmniej by z nimi porozmawiało i wytłumaczyło, bo może trzeba coś więcej wytłumaczyć? Może trzeba pokazać. Czy rozmawiacie też z tymi lekarzami z ośrodków, gdzie wyrażają zgodę na podanie i dają nadzieję? Nie można tych dzieci i rodziców zostawić po prostu samych. Nam tylko o to chodzi.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Szanowni państwo, panie ministrze, proponuję, żeby panie profesor odpowiedziały...

Poseł Władysław Kosiniak-Kamysz (KP):

Poproszę o tę odpowiedź na piśmie.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Tak, bo jeżeli będą jakieś elementy decyzji politycznych, to oczywiście pan minister, ale to przede wszystkim merytoryczne kwestie były poruszane. Dziękuję też za te wyważone pytania i komentarze, bo to jest istotną naszego dzisiejszego spotkana, a nie, niestety – przykro mi, panie pośle – takie niepotrzebne wypowiedzi, jakie były na początku. Bardzo proszę, pan minister najpierw. Czy tak?

Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:

Ja tylko trzy zdania...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

To najpierw pan minister, a później pani profesor.

Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:

Do pana posła Kosiniaka-Kamysza. Odpowiemy faktycznie na piśmie. Znamy przypadki tych osób. To są pacjenci objawowi, bo inaczej przed przesiewem nie byłoby... Są zdiagnozowane, ponieważ miały objawy, a wiemy, że pacjenci przedobjawowi mają największe efekty. Dlatego ten czas gra podstawową rolę, ale odpowiem na to na piśmie.

Drugie – interpelacja, którą wysłaliśmy do pani poseł Zawiszy w sprawie innych form leczenia. Mamy jasne kryteria nieskuteczności leczenia terapią nusinersen. Z tego, co wiem, na dzień dzisiejszy, przy 800 pacjentach, Zespół Koordynacyjny nie zdyskwalifikował pacjentów z leczenia, nie zabrał żadnemu pacjentowi leczenia, w związku z tym oczywiście nadal może się zdarzyć, że pacjent nie odnosi żadnego efektu, ale będziemy na to czekali, czy faktycznie to leczenie pogarsza sytuację pacjenta, bo tak do tej pory nie było.

I jeszcze trzecie pytanie... Nie, to te dwa pytania, a resztę pani profesor.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Proszę bardzo, pani profesor.

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

Ja może w odniesieniu do pierwszego pana, który mówił o tym, że terapia genowa jest skuteczniejsza od innych terapii: my na ten temat nic nie wiemy, żeby była skuteczniejsza. To jest pierwsza rzecz.

Druga rzecz. Ja nie wiem, ja nie słyszałam, żeby terapia na wektorze wirusowym albo wirusem w jakiejkolwiek konfiguracji, czyli gene replacement therapy, była refundowana w Polsce w jakimkolwiek innym obszarze terapeutycznym. Nie wiem, jak jest w onkologii, ale ja mówię o terapii Zolgensmą. To jest tak innowacyjne leczenie, że wydaje mi się, że w onkologii – z całym szacunkiem, państwo rozwijacie się błyskawicznie – taka terapia jeszcze nie jest refundowana... No, CAR-T są, ale to jest zupełnie inny mechanizm.

Powiem tak. Ja nie mam danych na to, żeby mimo ogromnych chęci, usprawiedliwić teorię, że terapia genowa jest w jakichkolwiek sposób lepsza od Spinrazy, czyli risdiplamu. Na to nie mam danych. To jest to, co powiedział pan profesor Maksymowicz. Jeśli takie dane za pół roku spłyną, to nad tymi danymi każdy się pochyli i będzie się zastanawiał, jak program lekowy usprawnić.

A wracając do pacjentów, którzy jak podkreślam nie „załapali się" – to takie okropne słowo – na terapię genową, to ci wszyscy pacjenci są leczeni i podawanie im... No, leczeni są. I są leczeni skutecznie, tak jak państwo...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Szanowni państwo, no naprawdę, trochę powagi. Pani profesor odpowiada, proszę naprawdę słuchać.

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

Ci pacjenci są leczeni, i są leczeni skutecznie. Oni są kwalifikowani przez nasz program, są oceniani co 4 miesiące... No, dalej prowadzą zbiórki, ale panie pośle, my też nie mamy żadnych mechanizmów, żeby zakazać zbiórek itd...

Poseł Władysław Kosiniak-Kamysz (KP):

Zaproście tych 25 osób...

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

Ale jeśli chodzi o moich pacjentów, którzy są z Trójmiasta, z każdym rozmawialiśmy indywidualnie. Ja stoję na stanowisku – zresztą napisaliśmy wspólnie jako Polskie Towarzystwo Neurologów Dziecięcych, którego przewodniczącą mam przyjemność być, że my opieramy się na zasadzie jeden pacjent, jeden lek, bo naprawdę nie wiemy, czy w długoterminowej perspektywie nie robimy krzywdy. Jeśli będą dane na to, że leczenie jest nieskuteczne, leczenie X, również leczenie Zolgensmą, to będziemy musieli sobie

poradzić z tym, żeby ten pacjent wrócił na przykład do nusinersenu lub jeśli nusinersen nie będzie...

Ja rozumiem to odczucie, bo pan mówi o podaniu dokanałowym, że to jest trudne – o tym zaraz powie jedno zdanie, czy dwa, pani profesor Kostera-Pruszczyk, bo ona zajmuje się dorosłymi pacjentami z najbardziej trudnymi wadami kręgosłupa. Ja jeszcze tylko powiem, że są najnowsze wyniki australijskie – o tym dyskutowaliśmy – które pokazują, że terapia genowa absolutnie najlepsze efekty daje do 8 kg nawet. Jest więc naprawdę to rozsunięcie i my ten komfort mamy.

I ja, żeby już państwa nie zanudzać, powiem tak – przyszłość dzieci, które od 1 września są identyfikowane w przesiewie, ale też przyszłość tych dzieci, które były zidentyfikowane przed refundacją terapii genowej, naprawdę jest w jasnych barwach. Naprawdę, proszę mi wierzyć, to są pacjenci, których my widzimy na co dzień. To są dzieci, które by nigdy nie usiadły, a chodzą.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Bardzo proszę.

Wiceprzewodnicząca PTND, wiceprzewodnicząca Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Anna Kostera-Pruszczyk:

Ja dwie sprawy chciałabym jeszcze króciutko poruszyć, czy do nich się odnieść. Zacznę od pacjentów tych starszych niż te najmniejsze dzieci, o których rozmawiamy.

Generalnie populacja chorych na SMA w Polsce to jest około 1000 pacjentów, około 50 dzieci rodzi się rocznie. W tej chwili w mojej klinice leczymy na SMA ponad 100 pacjentów: starsze dzieci i pacjentów dorosłych, którzy mają rodziny, żyją pracują, mają odwagę mieć plany i nie są skazani na nieustające pogarszanie się swojego stanu. To też jest pewna perspektywa, dla mnie bardzo ważna. I dajemy sobie radę z tymi bardzo trudnymi kręgosłupami. Nawet opublikowaliśmy świetny protokół niskodawkowy, który rzeczywiście pozwala robić to bardzo sprawnie i bardzo bezpiecznie.

Natomiast jeszcze krótki komentarz na temat kryterium masy ciała. Z punktu widzenia rozwoju zdrowego dziecka to wydaje się być kryterium bardzo proste. Natomiast w przypadku pacjentów chorujących na SMA1, czyli tę postać, odnośnie do której generalnie rozważamy czy dyskutujemy dzisiaj o terapii genowej, jest tak, że część tych dzieci żyje z ekstremalnym zanikiem mięśni. Nie ze średnim i nie z dużym, tylko z ekstremalnym zanikiem mięśni, co oznacza, że można znaleźć pacjenta, który jest nastolatkiem i waży kilkanaście kilogramów mimo prawidłowego leczenia żywieniowego i mimo dobrej na możliwości tej choroby opieki wielodyscyplinarnej.

Z mojego punktu widzenia rodzi się pytanie, czy podanie wektora wirusowego w dawce przeliczonej na kilogram masy ciała, w sytuacji, w której nie ma mięśnia prawie już, jest dużo tych tkanek, które nie są tkankami docelowymi dla wektora wirusowego... My wiemy, że im wyższa masa ciała pacjenta, który otrzymuje terapię genową, tym większe ryzyko powikłań, one są jednoznacznie związane z dawką wektora wirusowego. To są te informacje, które, chciałabym ufać, że neurolodzy dziecięcy w Polsce mają, bo rozmawiamy na ten temat i rzeczywiście pojawia się w ostatnim okresie trochę publikacji dotyczących niewielkich grup pacjentów, które raczej wskazują na ten wcześniejszy okres życia i nawet jeszcze niższe masy ciała.

Oczywiście to jest tak, proszę państwa, że przeglądając nazwijmy to prasę popularną, komunikatory, można odnieść wrażenie, że terapia genowa jest cudownym lekiem, który odwróci wszystko, co choroba zabrała. Nie ma na razie, w przypadku rdzeniowego zaniku mięśni, żadnej terapii, która odwróci to, co choroba zabrała. Z czysto lekarskiego punktu widzenia wydaje mi się, że bardzo rozważne i oparte na danych, które mamy nie tylko z publikacji – leczymy już w tej chwili ponad 800 pacjentów w Polsce lekiem refundowanym, mamy też dosyć dobrze rokujące badania kliniczne, mamy również wcześniejsze doświadczenia z lekiem doustnym... My chcielibyśmy wyważyć te decyzje tak, żeby to było skuteczne i bezpieczne, a nie żeby ktoś potem mówił, bo to jest zupełnie nieuzasadnione, że będzie odchudzał swoje dziecko z resztek mięśni po to, żeby ono zmieściło się w ramach jakiejś masy ciała. To jest po prostu... To znaczy, ja czytałam takie stwierdzenie w jakiejś...

Proszę państwa, to jest tak. SMA nie jest chorobą, która polega na tym, że dajemy lek i zapominamy o sprawie bez względu na to, jaki dajemy lek. Z wyjątkiem tych pacjentów, którzy mieli to wielkie szczęście, że otrzymali leczenie przedobjawowo... My nie mówimy bezobjawowo. My mówimy przedobjawowo. Ponieważ wiemy z pełnej jakby konfiguracji genetycznej, że te objawy pojawią się wkrótce, uciekamy, jesteśmy kilka kroków przed chorobą. Wszyscy pozostali pacjenci wymagają opieki wielodyscyplinarnej, opieki żywieniowej, rehabilitacji, bardzo wielu innych działań i ja myślę, że byłoby to z większym pozytywnym efektem, gdybyśmy podtrzymywali w rodzicach prawdziwą świadomość, że w tych obszarach trzeba robić wiele, żeby uzyskać jeszcze lepszy efekt terapii, którą mają, a nie próbować czegoś innego.

Ja jeszcze raz powtórzę – każdy z naszych ośrodków leczących w programie lekowym SMA jest zobowiązany do raportowania w pewnych skalach skuteczności leczenia, inaczej nasze szpitale nie dostaną zwrotu pieniędzy za lek, a lek kosztuje dużo. I my mamy twarde dowody na skuteczność terapii, która już jest, aczkolwiek myślę – nie uzgadniałyśmy tego – że zawsze będziemy śledzić to, co się dzieje i będziemy zabiegać o to, co dla naszych pacjentów w tej i innych chorobach będzie najlepsze, jeśli będą się pojawiały nowe badania i nowe dowody.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Teraz dalsze pytania. Pani poseł Iwona Kozłowska, proszę.

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Szanowny panie przewodniczący, szanowna Komisjo, szanowni państwo, szanowni goście, chciałabym podziękować oczywiście za leczenie i terapię genową dla dzieci do 6 miesiąca życia. To rzeczywiście jest ogromny sukces, natomiast, panie wiceprzewodniczący Hoc, proszę nie oczekiwać oklasków ze strony rodziców, którzy mają dzieci po 6 miesiącu życia i bronią ich, walczą o ich życie, walczą o ich zdrowie.

Na dzisiejszym posiedzeniu Komisji – nie wiem, czy państwo wiecie, ja przedstawię – jest dwóch ojców dziewczynek, które chorują właśnie na SMA. To jest pan Tomasz Szcześniewski, którego...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

To znaczy, pani poseł...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Ja tylko przedstawię...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Momencik, niech pani...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Ja tylko przedstawię...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani poseł...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Ale, panie przewodniczący...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani poseł, bardzo proszę...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Ale ja już bym skończyła, gdyby pan przewodniczący nie przerywał...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Ale, pani poseł, bardzo proszę. Ja o tym powiedziałem też na początku, my rozmawiamy...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Panie przewodniczący, proszę mi pozwolić skończyć, ja przedstawię tylko gości. To wszystko.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):
Ale, pani poseł, czy to coś zmienia. Rozmawiamy...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:
Ja chciałabym, żeby obecni wiedzieli, że na posiedzeniu Komisji są również zaproszeni goście...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):
To wiadomo...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:
Oczywiście dziękuję, że pan pozwolił...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):
...również jest fundacja. Ale do czego pani zmierza. Rozmawiajmy o problemie tych dzieci...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:
Zmierzam do konkretnych pytań...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):
...a nie o...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:
Ale proszę mi dać skończyć powiedzieć, nic więcej. Ja tylko przedstawię i zadam bardzo konkretne pytania.

Bardzo dziękuję, że pan pozwolił na wejście zaproszonych gości. Pan Tomasz Szcześniewski, który ma 18-miesięczną córkę Zosię i pan Piotr Gebauer, który ma 2,5-miesięczną Ninkę. I teraz moje pytania, bardzo konkretne. Zadaję je w imieniu tych rodziców, bo nie wiem, czy pan przewodniczący pozwoli im, żeby się wypowiedzieli. Jeżeli nie, to bardzo proszę wysłuchać mnie.

Czy stosowanie jednego leku wyklucza podanie Zolgensmy? Dlaczego? Dlatego że mam tutaj dokumenty Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Przeczytam konkretnie: „Nie jest wiadome, czy leczenie obejmie tylko pacjentów nowo zdiagnozowanych, czy również pacjentów obecnie już leczonych preparatem Spinraza. Nie były przeprowadzane badania kliniczne na pacjentach przyjmujących początkowo Spinrazę". Mam więc takie bardzo, bardzo konkretne pytanie: czy rzeczywiście podanie Spinrazy, czy jakiegokolwiek innego leku wyklucza podanie Zolgensmy?

Co z dziećmi – o czym mówił zresztą pan przewodniczący Kosiniak-Kamysz – na które już są prowadzone zbiórki? Rodzice zbierają pieniądze.

I kolejne moje, bardzo krótkie pytanie. Czy jeżeli zbiórka się powiedzie i zostanie zebranych prawie 10 mln zł, a podawany jest wcześniej lek, na przykład Spinraza, to po zebraniu tych pieniędzy zostanie podany tym dzieciom lek Zolgensma w Polsce, czy rodzice muszą szukać pomocy i wsparcia w innym kraju, za granicą?

Proszę, to takie konkretne pytania. Jaka jest szansa na to, żeby te dzieci – tych 25 czy 27 dzieci – mogły być leczone również Zolgensmą, oczywiście po indywidualnych badaniach i konsultacjach lekarskich wszystkich specjalności? Bardzo dziękuję.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):
Dziękuję. Pani poseł, pytanie, czy można łączyć terapie i co w takiej sytuacji, jak najbardziej jest zasadne, natomiast ja miałem innego rodzaju zastrzeżenia, żeby sprawa była jasna.

Teraz w kolejności pani poseł Krystyna Skowrońska. Proszę uprzejmie.

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):
Kontynuując wypowiedź pani poseł Kozłowskiej, poproszę państwa posłów z Komisji Zdrowia o uwagę. Pola została zdiagnozowana bez przesiewu. Dziecko objawowe. Pola ma 7,5 miesiąca, nie trzyma główki, znikoma reakcja nóg, rotacja zewnętrzna obu nóg, problemy z przełykaniem, pokarm tylko płynny, ręce ruchliwe, lecz brak siły mięśniowej mimo codziennej rehabilitacji. Trzyma lekkie, bardzo lekkie zabawki. Pierwsza Spinraza

podana 4 miesiące temu. Czeka na kolejną dawkę, którą ma dostać za 2 tygodnie. Nie słaba. Nie może wykonać podstawowych ćwiczeń rehabilitacyjnych.

Przed marcem 2022 r. nie było badań przesiewowych na Podkarpaciu i sądzę, że pan poseł Kosiniak-Kamysz mówił również o tym przypadku. Proszę zatem wytłumaczyć działanie podanego leku Spinrazy. Pola jest rehabilitowana, konsultowana z lekarzami i fizjoterapeutami. I skoro lekarz znający przypadek ocenia stan dziecka na taki, który jest wskazaniem do terapii genowej, to dlaczego nie wziąć tego pod uwagę.

Ja interpelację do pana ministra wysłałam 26 sierpnia 2022 r. Wskazałam w niej, i moi przedmówcy, koleżeństwo posłowie, między innymi pan poseł Hardie-Douglas, że w Stanach Zjednoczonych leczymy dzieci, podajemy terapię genową do 13,5 kg oraz wieku do 2 lat. Nie przekonują mnie żadne z objaśnień państwa, żadne z dzisiaj podanych argumentów, iż tym dzieciom nie można podać terapii genowej. To po pierwsze.

Pani poseł Wielichowska prezentując wniosek posłów klubu Koalicji Obywatelskiej, wskazała 27. W trakcie pojawiła się informacja, że z tej grupy nieobjętej kryteriami podania leku Zolgensma wykluczono 25 dzieci. Na te dzieci, na tę Polę, której państwo nie przyznali refundacji, zebrano 2 577 000 zł. To jest 27%. Nikt na tej sali – słuchałam pań profesor – nie jest w stanie powiedzieć, że te dzieci do 13,5 kg czy do dwóch lat, jak jest przekazane, bezwzględnie zostają wykluczone z tej terapii. Jeśliby tak było, to ja rozumiem, że zbiórka byłaby zakazana, lekarz podający w kraju byłby wykluczony z takiej możliwości. Byłaby to terapia zakazana.

Jeżeli już, jeżeli chcecie państwo o tym mówić, to chcę usłyszeć od pana ministra, kiedy i w jakim trybie dla tych 25 dzieciaków będzie przygotowane konsylium, żeby bezwzględnie państwo mogli powiedzieć – na świecie tak, za prywatne pieniądze tak, ale w Polsce nie. Tego oczekujemy... I takie pytanie... To nie jest żaden skandal. To jest pytanie rodziców...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Szanowni państwo, bardzo proszę...

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

Proszę państwa, ja dostałam list od rodziców i mam prawo zapytać w takiej sytuacji, co państwo odpowiedzą tym rodzicom. To nie jest żaden skandal. To jest upominanie się dzisiaj o 25 dzieci. O to, że jeżeli zbiorą 9 mln zł, to lek może być podany, to dostaną tę terapię, a inaczej nie. Powiedzieliście, że jest wykluczone i lekarz nie może takiej terapii podać dziecku. Rodzice uczestnicy w tym posiedzeniu Komisji zdecydowanie rozumieją mój głos. Ja mówię głosem rodziców Poli, którzy zbierają...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani poseł...

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

I druga...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

...wybrzmiało to jasno. Pani profesor...

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

Ale pan mnie nie będzie pouczał. Nie skończyłam. Mam jeszcze jedno pytanie.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani poseł, tak dziwnie się składa...

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

Mam jeszcze jedno pytanie.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani poseł Krystyna Skowrońska, Platforma Obywatelska, jest kolejną osobą, która publicznie wypowiada się w taki sposób. Moim zdaniem – powiem tak – dobrze, że środowisko medyczne może posłuchać państwa opinii w tych sprawach. Ja powiem tak – tylko się z tego cieszyć, bo przynajmniej wiedzą, z kim mają do czynienia. Bardzo proszę, niech pani poseł konstytuuje.

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

Chciałabym zatem zapytać pana ministra, czy tego rodzaju konsylium dla tych dzieci będzie przygotowane, żeby państwo powiedzieli odpowiedzialnie, państwo, resort: czy można u tych dzieci stosować terapię genową, czy nie można jej stosować, bo przesiewu na Podkarpaciu nie było? To jest pierwsze.

Drugie. Chciałabym zapytać, jaką cenę państwo wynegocjowali za refundację tej terapii. Dlaczego chcę o to zapytać? Dlatego że w zbiórkach to jest 9 mln i rodzice zbierają 9 mln. Ile resort, i jaki jest koszt refundacji? Nie, nie, to nie jest pytanie, jaki jest koszt łączny, tylko jaki jest koszt dla jednej osoby, dla jednego pacjenta, bo ja otrzymałam całą listę na półtorej strony, jakie to są dawki terapii genowej i w jaki sposób będą podawane. Dlatego proszę się nie dziwić, proszę państwa... Co by wam powiedzieli, państwo posłowie, rodzice tych dzieci, tych 25 dzieciaków, które mają lekko więcej wagi i nieco dłużej żyją? Przecież oni by państwu zdawali pytania jeszcze bardziej drażliwe niż moje. Ja próbowałam...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani poseł...

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

Ja próbuję...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

...już dwa razy panie profesor odpowiadały. Będą po raz trzeci odpowiadać. Bardzo proszę, żeby...

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

Ja próbuję to pokazać, żeby państwo zrozumieli sytuację tych rodziców, którzy zbierają na leczenie swoich dzieci. I wtedy powiem, które panie mówiły, że to jest skandal!

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani poseł, żeby sprawa była jasna. Wszyscy mamy wiele empatii dla tej tragicznej sytuacji tych dzieci i rodzin tych dzieci. Natomiast my tutaj rozmawiamy na temat refundacji, dopuszczenia określonych leków, wprowadzeniu określonej terapii, która jest wprowadzona zresztą dla wszystkich pacjentów. Dlaczego jest wprowadzona w taki sposób, a nie w inny, już to dwa razy było mówione i będzie powiedziane po raz trzeci.

Sytuacja jest oczywiście dramatyczna i wszyscy ogromnie współczujemy tym wszystkim osobom, które zachorowały na tę straszną chorobę i wszystkim ich bliskim, natomiast my tu rozmawiamy... I o to prosiłem od samego początku, i dlatego miałem określone zastrzeżenia odnośnie do formy tej dyskusji, aby to było robione w sposób maksymalnie nie emocjonalnie w sensie gry emocjami, bo emocje są tu oczywiste i zrozumiałe, żeby z tego wypłynęła pewna konkluzja, co dalej.

Pani poseł Sójka. Później panie profesor odpowiedzą.

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

Bardzo serdecznie dziękuję. Panie przewodniczący, panie ministrze, szanowni państwo, bardzo ważne posiedzenie Komisji dzisiaj, niezwykle istotne, natomiast po wysłuchaniu wnioskodawców, pani poseł Wielichowskiej, śmiem twierdzić, że pobudki, które spowodowały zwołanie tego posiedzenia, są absurdalne, ale przede wszystkim są takim czystym uprawnianiem polityki, ponieważ nie sposób... Myślę, że politycy opozycji, którzy zdecydowali się na złożenie wniosku o zwołanie tego posiedzenia Komisji, z pewnością mieli okazję zapoznać się – ja miałam już niejednokrotnie – chociażby z opiniami specjalistów, którzy są również na dzisiejszym posiedzeniu Komisji. Te opinie w Internecie, różne wywiady, można prześledzić i mniej więcej to, czego dzisiaj od specjalistów w tej dziedzinie... Można było to zrozumieć.

Myślę, że państwo byli zapoznani z tymi wiadomościami, natomiast mimo to ukuliście dzisiejszy wniosek, a pani poseł wnioskodawca wypowiedziała się w taki sposób, w jaki się wypowiedziała. Jednak, szanowni państwo, ja myślę, że przed wejściem na to posiedzenie Komisji, przed tymi drzwiami, ta polityka, którą dzisiaj próbujecie uprawiać, powinna mieć swoje granice, bo ochrona zdrowia, bo Komisja Zdrowia, bo przede wszyst-

kim pacjenci, a tak naprawdę mali pacjenci i ich rodziny, to nie jest obszar do uprawiania polityki.

Ja jestem specjalistą, jestem lekarzem chorób wewnętrznych i nie ośmieliłabym się dzisiaj wypowiadać, tak jak co niektórzy lekarze czy tak jak panie, chyba z zawodu ekonomistki: pani poseł Wielichowska, pani poseł Skowrońska. Wypowiadacie się państwo wbrew... Stwarzacie antytezy do tego, co bardzo prosto, bardzo jasno wypowiedziały specjalistki, które mają z tymi pacjentami do czynienia, które widzą ich od pierwszego dnia, kiedy choroba jest rozpoznana, a nawet wcześniej, które prowadzą ich leczenie, widzą przebieg tej choroby, widzą reakcje na leczenie i mają tytuły naukowe, a przede wszystkim doświadczenie w tej chorobie. I państwo cały czas, pomimo że bardzo jasno zostało to przedstawione, podejmujecie tutaj zdania, podważacie doświadczenie specjalistów, czego ja mimo wszystko, lekarz specjalista, nie byłabym w stanie zrobić. Nie ośmieliłabym się.

Drodzy państwo, ja uważam, że dzisiaj – to, co już wybrzmiało – możemy być dumni, bo Polska ma jedną z lepszych terapii. Mamy od bodajże kwietna tego roku badania przesiewowe, które są niesamowicie istotne, i to też jest bardzo wielki krok. Wcześniej mieliśmy terapię refundowaną, jak się dowiedzieliśmy, równie skuteczną. Dzisiaj mamy dodatkowe. Mamy 3 leki refundowane, mamy badania przesiewowe, czyli mamy w zasadzie pełen pakiet. Pacjenci, których rodzinami i emocjami gracie, jak się dowiedzieliśmy, mają równie skuteczną terapię zaproponowaną, refundowaną i są leczeni w Polsce na tę chorobę.

Drodzy państwo, szczyćmy się tym, że Polska jest pewną wyjątkowością w kwestii diagnostyki i leczenia, a jednocześnie bardzo bym prosiła, żeby posłów z opozycji było stać na to, by szeroko rozpowszechnić informację, a tak naprawdę wypowiedź specjalistów, pań profesor, które dzisiaj zabrały głos. Myślę, że mnie jako specjaliście rozwiały wiele wątpliwości, dopełniły pewne luki, gdzie miałam jakąś niewiedzę. Ta informacja dzisiaj była bardzo jasna, bardzo klarowna. I bardzo proszę: panie posłanki z opozycji, panowie posłowie, informujcie rodziców, informujcie ludzi, którzy nie mają do czynienia z tą choroba, ale porywają ich emocje wywołane przez różne tego typu happeningi – tak to bym nazwała. Przekażcie tę informację. Ona jest bardzo jasna: mamy w tej chwili w Polsce bardzo dobre leczenie, a mali pacjenci w Polsce nie są skazani. Oni mają zaproponowaną terapię. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dobrze. Pan przewodniczący Miller, proszę.

Poseł Rajmund Miller (KO):

Pani poseł, mamy prawo i pacjenci mają prawo... To nie jest polityka. Pacjenci mają prawo dowiedzieć się, bo oni mają dzieci – pani chyba też ma dzieci – jeżeli nie jest to dobrze wyjaśniane pacjentom. Ja dzisiaj... Proszę mi dać skończyć!

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Po pierwsze, szanowni państwo, bardzo proszę o spokój.

Poseł Rajmund Miller (KO):

Ja również jestem lekarzem, ale nie do końca rozumiem uzasadnienia przedstawione przez panie profesor. Pytania są takie. Jeżeli jest lek... Pani profesor mówi, że nie jest udowodnione lepsze działanie tego leku. To proszę mi powiedzieć, bo rozumiem, że państwo stosują kryteria dlatego, że ten lek jest drogi, bo nie macie doświadczenia... Sama pani powiedziała, że nie ma doświadczenia, które mówi, że ten lek jest droższy lub bardziej skuteczny. Prawda? W związku z tym, jeżeli są dzieci, które się kwalifikują do kuracji pod względem wagi, to rodzice mają prawo zapytać, dlaczego ich dzieci kuracji, która daje szansę... Często się opisuje, to, co przedstawiał mój kolega Hardie-Douglas, ja również mam artykuły ze Stanów Zjednoczonych, w których lekarze leczący tą terapią podają, że mają bardzo dobre wyniki również u dzieci, które przekroczyły 13 czy 14 kilo.

Proszę państwa, nie chciałem tego poruszać. Dwa lata temu, zespół do spraw onkologii. Na moje pytanie do pana wiceministra – nie tego, bo tamtego już nie ma – o szczepienia HPV, czy wiecie państwo, jaką otrzymałem odpowiedź. Pan wiceminister powiedział,

że Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w Polsce nie stwierdza skuteczności tego szczepienia. Na jakiej więc zasadzie ja po takich informacjach mam potem wierzyć w pewne oceny tej agencji? Ci ludzie są zrozpaczeni... A to ja pani jeszcze jedno powiem, jeżeli jest tak wspaniale w medycynie.

Pani poseł, do mnie, do mojego biura poselskiego, zgłosił się pacjent z międzybłoniakiem opłucnej, któremu odmówiono dostępu do terapii w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Stało się to mimo tego, że nawet podległa rządowi Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji uznała tę terapię za skuteczną. Czy pani jako lekarz zdaje sobie sprawę z tego, że temu człowiekowi ucieka życie, uciekają miesiące? Każdy dzień odmówienia takiej kuracji to jest wyrok dla tego pacjenta... To państwo kreujecie politykę sukcesu w opiece zdrowotnej, a dzisiaj mamy tragedię. Ta tragedia dzisiaj... Proszę mi nie przerywać. Tak tragedia dzisiaj...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Panie przewodniczący, do puenty proszę.

Poseł Rajmund Miller (KO):

Ja kończę. W związku z tym my tylko chcemy uzyskać, i mamy prawo, po to jest Komisja Zdrowia... Jeżeli państwo uzasadnicie, że nie jest to skuteczne, nie jest to potrzebne, to my państwu przyznamy rację, natomiast nie macie prawa odmawiać nam prawa do tego, żebyśmy w imieniu tych ludzi występowali, wcale nie politycznie.

Ja jestem ojcem, jestem dziadkiem, ja rozumiem rodziców, którzy dzisiaj są zaniepokojeni o przyszłość własnych dzieci...

Poseł Czesław Hoc (PiS):

A my nie rozumiemy. Czy tak?

Poseł Rajmund Miller (KO):

Ja już może skończę. Bardzo więc państwa proszę, jeżeli pani profesor może uzasadnić tak, że bezwzględnie nie można, bo są również wady tej terapii, która jest dostępna dla wszystkich, bo to są wstrzyknięcia co 4 miesiące i po iluś latach. Pan doktor Douglas mówił, jakie są skutki stosowania tego po dłuższym okresie... Ja dzisiaj nie usłyszałem, czy to leczenie, o które my staramy się dla tych dzieciaków, nie będzie mniej niebezpieczne. I jeszcze to, czego się dowiedziałem, to leczenie długotrwałe będzie w sumie droższe od tego leczenia genowego, o które my pytamy. Takie informacje uzyskałem, dlatego pytam o to.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Szanowni państwo, zanim oddam głos, chcę parę rzeczy uporządkować, tym bardziej że widzę zgłoszenia, jak rozumiem rodziców małych pacjentów. Po kolei, szanowni państwo, i panie przewodniczący również.

My wszyscy – ja nie mam cienia wątpliwości, że niezależnie od tego, kto i jaki głos tutaj zabierał, i również te osoby, które w ogóle głosu nie zabierały, wszyscy jesteśmy ogromnie przejęci losem tych małych pacjentów i to wszystko jest naprawdę wielkim dramatem, żeby sprawa była jasna, bo... Proszę o wyłączenie. Kto telewizję włączył z państwa?

Teraz dalej, szanowni państwo. Ja słyszałem osobiście... Ja szanuję to, że dla pana przewodniczącego może to nie jest jasne, ale ja dwa razy słyszałem wyjaśnienie, że to nie jest ani kwestia przekonania, ani nawet, jak słyszeliśmy, kwestia ceny. To jest kwestia wiedzy naukowej, zgodnie z którą państwo postępują. Notabene, ta wypowiedź sprzed dwóch lat to nie była wypowiedź konsultanta krajowego, eksperta, szefa towarzystwa naukowego, tylko jednak polityka. Ja słyszałem podobne wypowiedzi wcześniej – zostawmy to – za czasów różnych innych rządów.

Jeszcze odnośnie do zaproszonych gości i państwa, bo widzę, że państwo się zgłaszacie. Ja muszę państwu powiedzieć następującą rzecz, na co się umówiłem i jakie są zasady, których staram się transparentnie przestrzegać, niezależnie od tego, kto zwołuje posiedzenie Komisji i w jakiej sprawie. Ja państwu dopowiem, że teraz akurat jestem przewodniczącym z opcji rządzącej, ale byłem również przewodniczącym, gdy byłem w opozycji i stosowałem tę samą zasadę zawsze. Otóż, jeżeli jest reprezentacja

pacjencka, a państwo macie podwójną niejako, bo jest fundacja, która państwa reprezentuje a zastała założona 5 lat temu, to ja zapraszam organizacje pacjenckie. Również jest tutaj przedstawiciel federacji organizacji pacjenckich, która była zaproszona. Dlatego nie byłem zwolennikiem, aby zapraszać konkretnych ludzi, konkretne przypadki konkretnych osób, dlatego że zawsze mogę się spotkać z zarzutem – jutro, pojutrze – a gdzie pozostali. Dlaczego pozostali nie zostali zaproszeni, dlaczego nie zastosowano równości?

My tu mówimy o pewnej sytuacji, nawet nie konkretnego dziecka – co, jak rozumiem, jest dla państwa szczególnie ważne i najważniejsze, to jest oczywiste i zrozumiałe, też jestem ojcem – tylko mówimy o kryteriach dopuszczenia, dlaczego dziecko w danym wieku, jeżeli przekracza ten wiek już nie jest dopuszczone, czy można łączyć terapie – o co pytała pani poseł Kozłowska – czy różnych innych zagadnieniach, które nie dotyczą tylko i konkretnie waszego dziecka, ale również różnych innych, których rodzice nie są tutaj obecni na posiedzeniu Komisji, a bardzo możliwe, że obserwują przez Internet. Uzyskałem zapewnienie, że państwo po prostu będą biernymi obserwatorami i tak się umówiłem z posłami, którzy państwa zaprosili, i chciałbym, żebyśmy tej dżentelmeńskiej umowy przestrzegali.

Pani poseł, jak rozumiem, w imieniu państwa te pytania zadała. Jeżeli trzeba będzie jeszcze o coś dopytać, to pani poseł jeszcze dopyta. Jeżeli odpowiedź pań profesor będzie niewystarczająca, to proponuję, aby wtedy było ewentualne dopytanie. A teraz oddaję głos ekspertom. Bardzo proszę.

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

To ja może zacznę. Wydaje mi się, że większość odpowiedzi na państwa pytania jednak już padała...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Przepraszam, pani profesor. Zapomniałem, jeszcze jedna osoba. Jeszcze pan poseł Korwin-Mikke chciałby zadać pytanie i wtedy proszę o odpowiedź.

Poseł Janusz Korwin-Mikke (Konfederacja):

Jeśli można, przepraszam bardzo. Najpierw mam taką uwagę króciutką. Gdyby ktoś wyjął z kieszeni – bo jest bogaty i ma dziecko chore – ot tak 10 mln i chciał, żeby temu dziecku zapewnić terapię, której nie chciano dać bez tych pieniędzy, to byłby wrzask, że bogaci sobie zapewniają przywileje. Jeżeli zaś uzbiera 10 mln, to uważacie, że z tej okazji on ma większe przywileje niż ten, który tych pieniędzy nie uzbierał. Chciałbym poddać pod uwagę, jak państwo rozumujecie tutaj w tej sprawie.

Jednak moje pytanie jest zupełnie inne. I pytanie jest do ekspertów, bardzo ważne. Gdy ja miałem lat kilkanaście-kilkadziesiąt, okres ochrony patentowej wynosił 7 lat i można było to przedłużyć do 11. Pytanie to dotyczy nie tylko tej sprawy, nie tylko lekarstw, to dotyczy bardzo wielu dziedzin: jak zmieniłaby się sytuacja ludzi chorych w Polsce, gdyby Polska wymówiła obecną konwencję i wróciła do zasady, że patent obowiązuje tylko przez 7 lat? Dziękuję za uwagę. O ile spadłyby koszty...?

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Bardzo proszę, panie profesor.

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

To ja, wracając do pytań pań poseł i panów, ojców dziewczynek, którzy zbierają pieniążki i pani poseł, która mówiła o dziewczynce z Podkarpacia, która – jak słyszeliśmy – jest pacjentem objawowym i w takim stanie została zidentyfikowana. Jak rozumiem, on się nie pogarsza...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Przepraszam. Pani poseł Kozłowska, pani profesor odpowiada teraz pani.

Przewodnicząca PTND, członek Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska:

..., ponieważ gdyby się pogarszał, byłaby wykluczona z programu lekowego, którego jest częścią. Jeśliby się pogarszał, to wtedy oczywiście z programu lekowego jest wykluczona i bardzo możliwe, że musiałyby być rozważone inne rodzaje terapii. Przy czym nie wierzę, że byłaby to terapia genowa, ponieważ, jeśli ona ma 9 miesięcy, to według naszej najlepszej wiedzy, o której już mówiłam, jest pacjentem... To kryterium, o którym państwo mówią, o 13 kg, o dwóch latach, o amerykańskiej prasie i Charakterystyce Produktu Leczniczego, to jest to, co dało państwu taką nadzieję tych zbiórek. Ja państwa chciałabym przekonać o tym...

Tak przekonywałam rodziców, którzy trafili z przesiewu do mnie i dostali nusinersen lub risdiplam, i pytali: czy my mamy wchodzić w zbiórki? Rodzice o to pytają. Moim obowiązkiem wydawało mi się powiedzieć: zostawcie, dziecko jest skutecznie leczone, bo naprawdę ja nie wiem, czy podanie dwóch terapii w konsekwencji, za 10 lat, nie zrobi państwa córkom krzywdy. Naprawdę, mówię to z pełną odpowiedzialnością.

Pani mnie pyta, czy taka terapia jest zakazana. Ona oczywiście zakazana nie jest. Jeśli pani sobie uzbiera, czy ja sobie uzbieram pieniądze na coś, na portalu jakimś, czy na „zrzutce", czy „sie pomaga", czy gdziekolwiek, to jeśli znajdę kogoś, kto będzie mi chciał podać, no nie wiem, immunoglobuliny na coś – co dzieje się powszechnie – lek, który ja sobie sama kupię, to ja nie mam żadnych narzędzi jako szef kliniki takiej czy innej, żeby temu zapobiec, rzucić się i powiedzieć: proszę nie podawać.

Tutaj koleżanka na pewno potwierdzi, że mamy ogromny problem z pacjentami, którzy zbierają pieniądze właśnie na immunoglobuliny tylko dlatego, że leczą bardzo różne choroby, od boreliozy do niewiadomo czego jeszcze. Mają taką wiarę. Ja na tym może aż tak się nie znam, ale mam swoją opinię. My pacjentom nie możemy zabronić zbierania, ale ja mogę powiedzieć i mówię to z pełną odpowiedzialnością, że nam się wydaje, iż na tę chwilę podanie dwóch terapii na raz jest niedobre. Jest gorsze niż podanie jednej. Dlatego ten program lekowy tak został skonstruowany.

Ja rozumiem państwa frustrację, bo iluś pacjentów w Polsce już uzbierało historycznie pieniążki. Niektórzy pojechali do Stanów. Potem niektórzy znaleźli ośrodek w Polsce, który tę terapię genową też dość szeroko we wskazaniach podawał. Według naszej wiedzy, to nie było robione w ramach programu lekowego, to nie było robione ze standardami oceny skuteczności, ale i oceny ryzyka.

Państwo musicie sobie zdawać sprawę z tego, że my nie wiemy odnośnie do terapii na tym nośniku wirusowym, tego tak zwanego – jak już mówiłam – zastępowania genu, jak to będzie wyglądało później. A jeśli my to jeszcze podkręcimy oligonukleotydem antysensownym... Pan kiwa głową, ale naprawdę tego nie wiemy. Czy weźmie pan odpowiedzialność za to? Powie pan: proszę bardzo, trzeba dać, najlepiej na początek Spinrazę, potem Zolgensmę i popijemy to wszystko risdiplamem. To nie o to chodzi. Chodzi o dobro dzieci. Naprawdę, chodzi o dobro dzieci.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Ja myślę, szanowni państwo, że będziemy jeszcze wracać do tego tematu, bo wydaje się, że taka będzie kolej rzeczy. Myślę, że podsumowanie przedstawiciel wnioskodawców... Przepraszam, jeszcze jeden głos pani profesor. Proszę bardzo... Pani profesor teraz się wypowiada. Bardzo proszę.

Wiceprzewodnicząca PTND, wiceprzewodnicząca Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni Anna Kostera-Pruszczyk:

Proszę państwa, ja jeszcze raz wrócę do jednej sprawy, która jest schowana gdzieś tam w badaniach naukowych, do których my sięgamy regularnie, a które trochę zostały przykryte wieloma, w zrozumiały sposób, emocjonalnymi dyskusjami. SMA, szczególnie SMA1 jest chorobą o bardzo określonej i bardzo niedobrej dynamice. W dyskusjach, również w publikacjach, których w ostatnim okresie pojawia się więcej – bo nie tylko Polska jest krajem, w którym wszyscy zabiegają o to, żeby do pierwszej dostępnej terapii dołączyły kolejne, żeby można było diagnozować dzieci na bardzo wczesnym etapie,

czyli przedobjawowo – w zasadzie jedynym elementem najistotniejszym dla skuteczności którejkolwiek z tych trzech terapii jest jak najwcześniejsze rozpoznanie.

Ja bardzo bym chciała, żeby jeszcze jednym elementem, który zostanie w pamięci wszystkich uczestników tego dzisiejszego posiedzenia Komisji, tych z państwa, którzy nas oglądają, było to, że wszystkie dzieci w Polce są leczone skutecznym lekiem. Wszystkie dzieci, które mają stawiane rozpoznanie objawowo, są natychmiast kwalifikowane i natychmiast otrzymują skuteczną terapię. To nie jest prawda, we wszystkich systemach ochrony zdrowia, również w tych, które się uważają za znakomicie funkcjonujące, a to co jest niesłychanie istotne w kategoriach tych dużych, tak jak patrzymy na tę populację ludzi chorujących na tę dramatyczną chorobę, to możliwość leczenia w okresie przedobjawowym. Wtedy rzeczywiście ta jednorazowo podawana terapia genowa daje realną szansę na najwyższą skuteczność. I ten program, który funkcjonuje – zaczął już funkcjonować od początku września – znakomicie wpisuje się w to, co tylko tu, w Polsce, ale od strony aktualnej wiedzy medycznej na temat sposobu leczenia tej choroby, wiadomo.

Ja pamiętam – siedzi tu pani Kasia Petrycz – kiedy Fundacja SMA walczyła o to, żeby wysyłać polskie dzieci na terapię za granicą do badań klinicznych. Wiele lat temu drżały mi ręce, gdy kwalifikowałam dzieci, które miały 7 dni życia i jechały do Włoch do badania klinicznego tym pierwszym lekiem, który był wtedy w badaniu klinicznym leczenia przedobjawowego. Ja przyznam, proszę państwa, że ja wtedy nie wierzyłam, bo nie było żadnych danych. Było badanie kliniczne, które było robione w ośrodku profesora Bertiniego. Nie wierzyłam, że to aż tyle zmieni. Potem okazało się, że dzieci leczone przedobjawowo chodzą, biegają, wspinają się po drabinkach. Bardzo więc proszę, pamiętajmy, że dzieci w Polsce są leczone skutecznie.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo za ten ważny głos. Rozumiem, że pani poseł Kozłowska jeszcze w imieniu pacjentów chce o coś dopytać. To bardzo krótko. Proszę, pani poseł.

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Bardzo dziękuję, panie przewodniczący. No tak, tutaj rzeczywiście pozwoliliśmy sobie na taką krótką rozmowę i zaproszeni goście zwracają uwagę na to, że ta dyskusja nie prowadzi do rozwiązania tego problemu. Bardzo tego żałuję, bo tu nie chodzi teraz o udowadnianie, że Spinraza działa i jest skuteczna, tylko o to, co zrobić, aby te dzieci miały szansę na rozwój i żeby zatrzymać tę chorobę.

To może ja przeczytam takie podsumowanie niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej, które zostało przygotowane przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani poseł, nie. Nie na to się umawialiśmy.

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

„Terapia na ...” ... Ale, panie przewodniczący...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani poseł, szanujmy się...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Ale to wynika z naszej dyskusji. Chcę zadać pytanie...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Nie, nie. Z całym szacunkiem dla pani...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Panie przewodniczący, najpierw mi pan daje głos, a potem mi pan przerywa...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani poseł, z całym szacunkiem dla pani klubu, za chwilę podsumuje to – tak się umówiłem – przedstawiciel wnioskodawców, pani poseł Wielichowska. Naprawdę... Nie pani, z całym szacunkiem...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Ale ja mam pytanie do pani profesor. Proszę pozwolić mi zapytać...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Poza tym, pani poseł, ja muszę powiedzieć z żalem, że chyba jednak byliśmy na dwóch różnych posiedzeniach Komisji, ponieważ tutaj była mowa o tym, że wszystkie dzieci są leczone, jaki jest sposób... No tak, państwo widzę uważają, że powinno się dołożyć ten nowy lek...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Nie, ja chcę dopytać tylko specjalistów, ekspertów, na podstawie dokumentów...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dobrze. Naprawdę wierzcie mi państwo – a mam przykłady różnych sytuacji, także ze swojej rodziny – później, po czasie, można żałować pewnego naginania dopuszczenia do terapii...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Ale ja niczego nie naginam, panie przewodniczący...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

..., ponieważ później nie będzie odpowiedzialnego i będzie pretensja do lekarzy o to, że nie powstrzymali zapędów i zrobiono kombinowaną terapię...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

Ale to jest opracowanie wykonane na wniosek Ministerstwa Zdrowia...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dobrze. Pani poseł Wielichowska...

Poseł Iwona Kozłowska (KO) – spoza składu Komisji:

No proszę...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Pani poseł, naprawdę, przykro mi to mówić. Szanujmy się. Na coś się umawialiśmy. Podsumowuje pani poseł Wielichowska. Proszę.

Poseł Monika Wielichowska (KO):

Bardzo dziękuję, panie przewodniczący. Szanowni państwo, zacznę jednak od końca, ponieważ nie nazwałabym, pani poseł, tego posiedzenia Komisji absurdalnym ani też happeningowym, bo zdrowie i życie obywateli nie ma barw politycznych, a przede wszystkim zdrowie i życie dzieci.

My jesteśmy parlamentarzystami. Do naszych biur poselskich zgłaszają się właśnie rodzice, których dzieci zostały wykluczone z refundacji tak zwanym najdroższym lekiem świata. Oni nie mają czasu protestować pod Ministerstwem Zdrowia. Oni nie mają czasu stać z transparentami pod Sejmem, ponieważ są zmęczeni zbiórkami i zajmowaniem się chorymi dziećmi, bo walczą o ich zdrowie i życie.

Nie dyskryminowałabym również wykształcenia posłów i posłanek zasiadających w tej Komisji, Komisji Zdrowia, ponieważ wrzuciła pani poseł do jednego worka również wiceministra zdrowia i ministra zdrowia. Oni również, tak jak my, są ekonomistami.

Teraz już do clou. Szanowna pani profesor, zwracam się do pani profesor Mazurkiewicz, nikt nie powiedział na posiedzeniu Komisji, również ja, że 27 dzieci jest wykluczone z leczenia... Powiedziałam, z leczenia najnowocześniejszą genową terapią Zolgensmą. O tym dzisiaj rozmawiamy przez cale posiedzenie...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

To znaczy, pani poseł, jest kilka nowoczesnych terapii. To jest nowa, która została dopuszczona. Bądźmy precyzyjni, naprawdę, bo to ludzie obserwują.

Poseł Monika Wielichowska (KO):

Ale mamy posiedzenie Komisji wiadomo, o czym i wszyscy wiemy, o czym tutaj dyskutujemy...

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

O SMA dyskutujemy, pani poseł...

Poseł Monika Wielichowska (KO):

Tak samo jak nikt też nie mówił o stosowaniu równocześnie dwóch terapii. Bardziej chyba szliśmy w kierunku zastępowalności, z pytaniem, czy podawanie jednego leku, kiedy się go zastopuje, wyklucza podawanie terapii genowej.

I przechodzę do clou, ponieważ czytam słowa pani profesor Magdaleny Chorościńskiej-Krawczyk z Lubelskiego Uniwersyteckiego Szpitala Dziecięcego, która jako pierwsza w Polsce podała lek Zolgensma wiosną 2020 r. Pani profesor mówi i tutaj cytuję, że: „należałoby rozważyć rozszerzenie dostępności terapii również u dzieci, które otrzymały inne leczenie". Pani profesor też w tym samym artykule, jak czytam, wspomina najmłodsze dziecko, czyli pięciomiesięczne, które zostało poddane temu leczeniu i widzi, jakie robi postępy. W sumie leczeniu tą terapią w Polsce zostało poddanych 33 dzieci i wszystkie – jak mówi pani profesor – robią postępy bardzo widoczne.

Ja tutaj też zacytuję, bo to jest bardzo ważny cytat. Być może to będzie taka kropka nad „i" posiedzenia Komisji, które dzisiaj nie zakończy się, i ten temat też nie zakończy się, gdy zatrzaśniemy drzwi i pan przewodniczący zamknie posiedzenie. Pani profesor mówi: „Widać postępy w funkcjach merytorycznych ruchowych. Oceniamy to w specjalnych obiektywnych skalach fizjoterapeutycznych. Po 4 tygodniach u każdego z pacjentów obserwowaliśmy kilkunastostopniową poprawę", opisuje pani profesor. Dodaje, że: „Niezwykle ważna jest poprawa w sferze oddechowej. U tych pacjentów wskutek postępującego rdzeniowego zaniku mięśni dochodzi do niewydolności oddechowej i wymagają wspomagania. Natomiast po zastosowaniu terapii widzieliśmy, że ta sfera też się poprawia".

I ja tutaj postawię kropkę, dlatego że również państwo profesorowie nie są do końca zgodni w tym, co mówicie, a my szukamy dobrego rozwiązania i mówimy w imieniu dzieci, i tylko w imieniu dzieci, nie uprawiając polityki. Komisja Zdrowia, Sejm są właśnie od tego, żeby na te tematy dyskutować i szukać rozwiązań. Mam nadzieję, że ten temat jednak w końcu znajdzie szczęśliwy finał dla wszystkich, również tej 25 dzieci wykluczonych z refundacji. Bardzo dziękuję.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Zamykam posiedzenie Komisji.